



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3749308 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/445 (2006.01)
A61P 13/12 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2024.01.22
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2023.10.25
(86)	European Application Nr.	19706182.3
(86)	European Filing Date	2019.02.06
(87)	The European Application's Publication Date	2020.12.16
(30)	Priority	2018.02.06, US, 201862626992 P
(84)	Designated Contracting States:	AL ; AT ; BE ; BG ; CH ; CY ; CZ ; DE ; DK ; EE ; ES ; FI ; FR ; GB ; GR ; HR ; HU ; IE ; IS ; IT ; LI ; LT ; LU ; LV ; MC ; MK ; MT ; NL ; NO ; PL ; PT ; RO ; RS ; SE ; SI ; SK ; SM ; TR
(73)	Proprietor	Amicus Therapeutics, Inc., 3675 Market Street, Philadelphia, PA 19104, USA
(72)	Inventor	BARTH, Jay, Amicus Therapeutics, Inc., 1 Cedar Brook Drive, Cranbury, New Jersey 08512, USA BENJAMIN, Elfrida, Amicus Therapeutics, Inc., 1 Cedar Brook Drive, Cranbury, New Jersey 08512, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54)	Title	TREATMENT OF PATIENTS WITH CLASSIC FABRY DISEASE WITH MIGALASTAT
(56)	References Cited:	WO-A1-2018/017721 WO-A1-2019/017938 US-A1- 2010 113 517 US-A1- 2015 238 474 US-A1- 2017 273 959 GIUGLIANI R ET AL: "A Phase 2 study of migalastat hydrochloride in females with Fabry disease: Selection of population, safety and pharmacodynamic effects", MOLECULAR GENETICS AND METABOLISM, ACADEMIC PRESS, AMSTERDAM, NL, vol. 109, no. 1, 26 January 2013 (2013-01-26), pages 86-92, XP028547824, ISSN: 1096-7192, DOI: 10.1016/J.YMGME.2013.01.009 Anonymous: "EUROPEAN MEDICINES AGENCY (EMA) Galafold", , 9 June 2016 (2016-06-09), pages 1-117, XP093061474, Internet Retrieved from the Internet: URL: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/galafold [retrieved on 2023-07-06]

Enclosed is a translation of the patent claims in Norwegian. Please note that as per the Norwegian Patents Acts, section 66i the patent will receive protection in Norway only as far as there is agreement between the translation and the language of the application/patent granted at the EPO. In matters concerning the validity of the patent, language of the application/patent granted at the EPO will be used as the basis for the decision. The patent documents published by the EPO are available through Espacenet (<http://worldwide.espacenet.com>) or via the search engine on our website here: <https://search.patentstyret.no/>

Patentkrav

1. Migalastat eller salt derav for anvendelse i en fremgangsmåte for reduksjon av nyreglobotriaosylceramid (GL-3) hos en pasient som har klassisk Fabrys sykdom,
5 fremgangsmåten omfattende administrering til pasienten av en effektiv mengde av migalastat eller salt derav med en frekvens på én gang annenhver dag for reduksjon av pasientens nyre GL-3, hvori den effektive mengden er 100 mg til 150 mg fri baseekvivalent (FBE).
- 10 2. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori pasienten har et detekterbart nivå av interstitiell kapillær GL-3 i nyren før initiering av administreringen av migalastaten eller saltet derav.
3. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 1 eller 2, hvori reduksjon av
15 nyre GL-3 omfatter reduksjon av GL-3-inneslutninger per nyre interstitielt kapillært.
4. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–3, hvori pasienten har en mutasjon i α -Gal A valgt fra gruppen som består av I253T, P259R, G183D, L243F, C174R, D55V/Q57L, G144V, G373S, D322E, G325R og Y216C.
20
5. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–4, hvori migalastaten eller saltet derav øker α -galaktosidase A-aktivitet.
6. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–
25 5, hvori den effektive mengden er 123 mg FBE.
7. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–6, hvori den effektive mengden er 123 mg av migalastat fri base.
- 30 8. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–6, hvori saltet av migalastat er migalastathydroklorid.
9. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 8, hvori den effektive mengden er 150 mg av migalastathydroklorid.
35
10. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–9, hvori migalastaten eller saltet derav er i en oral doseringsform.

11. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 10, hvori den orale doseringsformen omfatter en tablett, en kapsel eller en løsning.
12. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–
5 11, hvori migalastaten eller saltet derav administreres i minst 6 måneder.
13. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–
12, hvori administrering av migalastaten eller saltet derav til en gruppe av klassiske Fabry-
pasienter tilveiebringer en gjennomsnittlig reduksjon i GL-3-inneslutninger per nyre
10 interstitielt kapillært på minst 0,5 etter 6 måneder etter administrering av migalastaten
eller salt derav.