



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3801536 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/519 (2006.01)
A61K 9/00 (2006.01)
A61K 9/20 (2006.01)
A61P 3/00 (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2024.11.11
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.07.17
(86)	European Application Nr.	19811888.7
(86)	European Filing Date	2019.05.30
(87)	The European Application's Publication Date	2021.04.14
(30)	Priority	2019.05.28, GC, 201937663 2018.05.30, US, 201862677943 P 2018.11.26, US, 201862771398 P 2019.03.22, US, 201962822376 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
	Designated Extension States:	BA ; ME
	Designated validation states:	MD
(73)	Proprietor	PTC Therapeutics MP, Inc., 500 Warren Corporate Center Drive, Warren, NJ 07059, USA
(72)	Inventor	SMITH, Neil, 65 William Street, Suite 200, Wellesley, MA 02481, USA REIS, Jonathan, 65 William Street, Suite 200, Wellesley, MA 02481, USA
(74)	Agent or Attorney	ZACCO NORWAY AS, Postboks 488, 0213 OSLO, Norge

(54) Title **ADMINISTRATION OF SEPIAPTERIN WITHOUT FOOD FOR USE IN A METHOD FOR INCREASING SEPIAPTERIN PLASMA EXPOSURE**

(56) References
Cited: WO-A1-2019/102315, WO-A2-2008/128049, US-A1- 2013 197 000
US-A1- 2017 307 591, WO-A1-2019/046849, WO-A1-2019/232126, US-A1- 2005 197 341
SMITH NEIL ET AL: "Phase I clinical evaluation of CNSA-001 (sepiapterin), a novel pharmacological treatment for phenylketonuria and tetrahydrobiopterin deficiencies, in healthy volunteers", MOLECULAR GENETICS AND METABOLISM, vol. 126, no. 4, 10 February 2019 (2019-02-10), pages 406 - 412, XP085697597, ISSN: 1096-7192, DOI: 10.1016/J.YMGME.2019.02.001

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. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk i en fremgangsmåte ved behandling av en BH4-relatert forstyrrelse hos et individ med behov for det, hvor fremgangsmåten omfatter å administrere en virksom mengde av sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt
- 5 derav, til individet uten næring, hvor:
- den BH4-relaterte forstyrrelsen er en CNS-forstyrrelse;
- sepiapterinet blir administrert oralt i en oral doseringsform; og
- administreringen til individet skjer mellom to timer etter inntak av næring og 30 minutter før inntak av ytterligere næring.
- 10
2. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge krav 1, hvor administreringen øker sepiapterin-plasmaeksponeringen hos individet sammenliknet med administrering med næring.
- 15
3. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge krav 1, hvor fremgangsmåten øker sepiapterin-cerebrospinalfluid-(CSF)- og/eller -hjerneeksponeringen hos individet sammenliknet med administrering med næring.
- 20
4. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge krav 1, hvor fremgangsmåten øker absorpsjonsraten og/eller reduserer periferisk omdannelse til BH4 av en oral doseringsform av sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, målt ved konsentrasjonen av sepiapterin som oppnås i plasmaen over tid hos individet, sammenliknet med administrering med næring.
- 25
5. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 4, hvor den virksomme mengden er en mengde tilstrekkelig til å frembringe en konsentrasjon på minst 0,5 ng/mL i plasmaen til individet i løpet av 1 time etter administrering.
- 30
6. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge krav 5, hvor den virksomme mengden omfatter en dose som er minst 20% lavere enn dosen tilstrekkelig til å frembringe en maksimal plasmakonsentrasjon (C_{max}) på minst 0,5 ng/mL hos individet i løpet av 1 time etter administrering av sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, sammen med næring.

3801536

2

7. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 6, hvor den virksomme mengden er 2,5 mg/kg til 100 mg/kg per dose.

5 8. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 7, hvor administreringen til individet skjer mer enn 30 minutter før eller mer enn fire timer etter inntak av næring.

10 9. Sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 8, hvor den virksomme mengden resulterer i en økning i den maksimale plasma-, CSF-, og/eller hjernekonsentrasjonen (C_{max}) av sepiapterin, eller et farmasøytisk akseptabelt salt derav, sammenliknet med administrering med næring.