



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3840753 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/445 (2006.01)
A61P 3/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2024.10.28
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.07.24
(86)	European Application Nr.	19703514.0
(86)	European Filing Date	2019.01.16
(87)	The European Application's Publication Date	2021.06.30
(30)	Priority	2018.08.20, US, 201862719962 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	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	MIGALASTAT FOR USE IN METHODS OF TREATING FABRY DISEASE IN PATIENTS HAVING A MUTATION IN THE GLA GENE
(56)	References Cited:	SHIN S H ET AL: "Prediction of response of mutated alpha-galactosidase A to a pharmacological chaperone", PHARMACOGENETICS AND GENOMICS, LIPPINCOTT WILLIAMS & WILKINS, PHILADELPHIA, PA, US, vol. 18, no. 9, 1 September 2008 (2008-09-01), pages 773 - 780, XP002566495, ISSN: 1744-6872, DOI: 10.1097/FPC.0B013E32830500F4 GALAFOLD ANONYMOUS: "PRESCRIBING INFORMATION GALAFOLD", 1 August 2018 (2018-08-01), pages 1 - 29, XP055582812, Retrieved from the Internet <URL:https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2018/208623lbl.pdf> [retrieved on 20190424] GERE SUNDER-PLASSMANN ET AL: "Migalastat for the treatment of Fabry disease", EXPERT OPINION ON ORPHAN DRUGS, vol. 6, no. 5, 4 May 2018 (2018-05-04), pages 301 - 309, XP055527565, DOI: 10.1080/21678707.2018.1469978 E R BENJAMIN: "The Validation of Pharmacogenetics for the Identification of Fabry Patients for Treatment with Migalastat Supplementary Information", GENETICS IN MEDICINE, vol. 19, no. 4, 22 September 2016 (2016-09-22), pages S1 - S95, XP055582559 ELFRIDA R. BENJAMIN ET AL: "The validation of pharmacogenetics for the identification of Fabry patients to be treated with migalastat", GENETICS IN MEDICINE, vol. 19, no. 4, 22 September 2016 (2016-09-22), US, pages 430 - 438, XP055582063, ISSN: 1098-3600, DOI: 10.1038/gim.2016.122

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 et salt derav for anvendelse i en fremgangsmåte for behandling av Fabrys sykdom hos en menneskelig pasient med behov derav, fremgangsmåten
5 omfattende administrering til pasienten av en terapeutisk effektiv dose av migalastaten eller saltet derav, hvori pasienten har en α -galaktosidase A-mutasjon valgt fra gruppen som består av: Y88S og R392T.
2. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori migalastaten eller
10 saltet derav administreres til pasienten annenhver dag.
3. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori pasienten administreres ca. 100 til ca. 150 mg fri baseekvivalent av migalastaten eller saltet derav annenhver dag.
15
4. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori pasienten administreres ca. 123 mg fri baseekvivalent av migalastaten eller saltet derav annenhver dag.
- 20 5. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori pasienten administreres ca. 123 mg migalastat fri base annenhver dag.
6. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori pasienten administreres ca. 150 mg migalastathydroklorid annenhver dag.
25
7. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 6, hvori migalastaten eller saltet derav administreres oralt.
8. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene
30 1 til 6, hvori migalastaten eller saltet derav administreres ved injeksjon.
9. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 8, hvori migalastaten eller saltet derav øker α -galaktosidase A-aktivitet.
- 35 10. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori pasienten er mann.

11. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori pasienten er kvinne.
12. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 11, hvori mutasjonen er Y88S.
13. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 11, hvori mutasjonen er R392T.