



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3914247 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/445 (2006.01)
A61P 9/00 (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2025.01.27
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.11.13
(86)	European Application Nr.	20708283.5
(86)	European Filing Date	2020.01.22
(87)	The European Application's Publication Date	2021.12.01
(30)	Priority	2019.01.22, US, 201962795524 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	SKUBAN, Nina, Amicus Therapeutics, Inc. 1 Cedar Brook Drive, Cranbury, New Jersey 08512, USA LAGAST, Hjalmar, 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	USE OF MIGALOSTAT IN REDUCING THE RISK OF CEREBROVASCULAR EVENT IN PATIENTS WITH FABRY DISEASE
(56)	References Cited:	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 SHENG SEN ET AL: "Fabry's disease and stroke: Effectiveness of enzyme replacement therapy (ERT) in stroke prevention, a review with meta-analysis", JOURNAL OF CLINICAL NEUROSCIENCE, vol. 65, 4 April 2019 (2019-04-04), pages 83 - 86, XP085707717, ISSN: 0967-5868, DOI: 10.1016/J.JOCN.2019.03.064 RANIERI MICHELA ET AL: "Fabry Disease: Recognition, Diagnosis, and Treatment of Neurological Features", CURRENT TREATMENT OPTIONS IN NEUROLOGY, SPRINGER US, BOSTON, vol. 18, no. 7, 26 May 2016 (2016-05-26), pages 1 - 18, XP035989484, ISSN: 1092- 8480, [retrieved on 20160526], DOI: 10.1007/S11940-016-0414-5 DERRALYNN A HUGHES ET AL: "Oral pharmacological chaperone migalastat compared with enzyme replacement therapy in Fabry disease: 18-month results from the randomised phase III ATTRACT study", JOURNAL OF MEDICAL GENETICS, vol. 54, no. 4, 10 November 2016 (2016-11-10), GB, pages 288 - 296, XP055690446, ISSN: 0022-2593, DOI: 10.1136/jmedgenet- 2016-104178

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 å redusere risikoen for en cerebrovaskulær (CBV) hendelse hos en pasient med Fabrys sykdom,
5 fremgangsmåten omfattende å administrere til pasienten en formulering omfattende en effektiv mengde av migalastaten eller salt derav annenhver dag i minst 2 år, hvori den effektive mengden er ca. 100 mg til ca. 150 mg fri baseekvivalent (FBE).
2. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori CBV-hendelsen
10 omfatter én eller flere av hjernestammeiskemi, hjerneinfarkt, hjerneblødning, cerebral iskemi, cerebrovaskulær ulykke, embolisk hjerneslag eller forbigående iskemisk angrep.
3. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 1 eller 2, hvori migalastaten eller salt derav øker α -galaktosidase A-aktivitet.
15
4. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–3, hvori pasienten administreres ca. 123 mg FBE av migalastaten eller salt derav annenhver dag.
- 20 5. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–4, hvori pasienten administreres ca. 150 mg migalastathydroklorid annenhver dag.
6. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–5, hvori formuleringen omfatter en oral doseringsform.
25
7. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 6, hvori den orale doseringsformen omfatter en tablett, en kapsel eller en løsning.
8. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–
30 7, hvori migalastaten eller salt derav administreres i minst 3 år eller i minst 4 år.
9. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–8, hvori pasienten ikke hadde en første CBV-hendelse før initiering av administrering av migalastaten eller salt derav.
35
10. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–8, hvori pasienten hadde en første CBV-hendelse før initiering av administreringen av migalastaten eller salt derav.

11. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–10, hvori pasienten er en naiv pasient med enzymerstatningsterapi (ERT).
- 5 12. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–10, hvori pasienten er en ERT-erfaren pasient.
13. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–12, hvori pasienten har en HEK-analysemottakelig mutasjon i α -galaktosidase A.
- 10 14. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 13, hvori mutasjonen er offentliggjort i en farmakologisk referansetabell.
- 15 15. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 14, hvori den farmakologiske referansetabellen er tilveiebrakt i en produktetikett for et migalastatprodukt godkjent for behandlingen av Fabrys sykdom.