



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 4062916 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.

A61K 31/445 (2006.01)

A61P 13/12 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2025.01.13
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.10.09
(86)	European Application Nr.	22165669.7
(86)	European Filing Date	2018.05.30
(87)	The European Application's Publication Date	2022.09.28
(30)	Priority	2017.05.30, US, 201762512458 P 2018.02.06, US, 201862626953 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
(62)	Divided application	EP3630114, 2018.05.30
(73)	Proprietor	Amicus Therapeutics, Inc., 3675 Market Street, Philadelphia, PA 19104, USA
(72)	Inventor	CASTELLI, Jeff, Philadelphia 19104, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54) Title **TREATING FABRY PATIENTS HAVING CERTAIN MUTATIONS**

(56) References
Cited:

WO-A1-2012/154681

SKUBAN N BARTH J YU J ET AL: "SP002: Clinical outcomes with migalastat in patients with fabry disease based on degree of renal impairment: Results from phase 3 trials", NEPHROLOGY DIALYSIS TRANSPLANTATION; 55TH ANNUAL CONGRESS OF THE EUROPEAN RENAL ASSOCIATION-EUROPEAN DIALYSIS AND TRANSPLANT ASSOCIATION, ERA-EDTA 2018, OXFORD UNIVERSITY PRESS, GB; COPENHAGEN, DENMARK, vol. 33, no. Supplement 1, 1 May 2018 (2018-05-01), pages i346, XP009507822, ISSN: 0931-0509, DOI: 10.1093/NDT/GFY104.SP002

EMA: "Galafold", EUROPEAN MEDICINES AGENCY, 1 January 2016 (2016-01-01), XP055861177, Retrieved from the Internet

<URL:https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/galafold> [retrieved on 20211115]
EUROPEAN COMMISSION: "granting marketing authorisation under Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council for "Galafold - migalastat", an orphan medicinal product for human use", EUROPEAN COMMISSION - COMMISSION IMPLEMENTING DECISION, 26 May 2016 (2016-05-26), XP055861180, Retrieved from the Internet <URL:https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1082.htm> [retrieved on 20211115]

EMA: "Galafold 123 mg hard capsules", ANNEX I SUMMARY OF PRODUCT CHARACTERISTICS, 9 June 2016 (2016-06-09), pages 1 - 45, XP055861186, Retrieved from the Internet <URL:https://www.ema.europa.eu/> [retrieved on 20211115]

WILLIAMS H ET AL: "SP004: Effects of long-term migalastat treatment on renal function by baseline proteinuria in patients (PTS) with fabry disease", NEPHROLOGY DIALYSIS TRANSPLANTATION; 55TH ANNUAL CONGRESS OF THE EUROPEAN RENAL ASSOCIATION-EUROPEAN DIALYSIS AND TRANSPLANT ASSOCIATION, ERA-EDTA 2018, OXFORD UNIVERSITY PRESS, GB; COPENHAGEN, DENMARK, vol. 33, no. Supplement 1, 1 May 2018 (2018-05-01), pages i347 - i348, XP009507821, ISSN: 0931-0509, DOI: 10.1093/NDT/GFY104.SP004

JOHNSON FRANKLIN K ET AL: "An open-label study to determine the pharmacokinetics and safety of migalastat HCl in subjects with impaired renal function and healthy subjects with normal renal function", CLINICAL PHARMACOLOGY IN DRUG DEVELOPMENT UNITED STATES JUL 2017, CLINICAL PHARMACOLOGY IN DRUG DEVELOPMENT UNITED STATES JUL 2017, CLINICAL PHARMACOLOGY IN DRUG DEVELOPMENT UNITED STATES JUL 2017, vol. 4, no. 4, 30 June 2015 (2015-06-30), pages 256 - 261, XP009507828, ISSN: 2160-7648, DOI: 10.1002/CPDD.149

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 behandlingen av Fabrys sykdom hos en pasient som har et α -galaktosidase-A-protein omfattende en HEK-analysemottakelig mutasjon valgt fra gruppen som består av N34D, N34T, G35V, I133M, F145S, P146R, L167V, L180W, R196G, M208R, I219L, Q221P, N224T, I242T, Q250R, Q250H, G261S, G261C, I303F, K326N, F337S, E358Q og G375E.
5
2. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 1 for behandlingen av Fabrys sykdom hos en pasient som har nedsatt nyrefunksjon.
10
3. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 2 for behandlingen av Fabrys sykdom hos en pasient som har mild eller moderat nedsatt nyrefunksjon.
4. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 2 for behandlingen av Fabrys sykdom hos en pasient som har alvorlig nedsatt nyrefunksjon.
15
5. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 4, hvori pasienten er en pasient med enzymerstatningsterapi (ERT).
20
6. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 4, hvori pasienten er en naiv pasient med enzymerstatningsterapi (ERT).
7. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 6, hvori pasienten har et proteinurinivå på mindre enn 100 mg/24 timer før behandlingen startes.
25
8. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 6, hvori pasienten har et proteinurinivå på 100 til 1 000 mg/24 timer før behandlingen startes.
30
9. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 6, hvori pasienten har et proteinurinivå på over 1000 mg/24 timer før behandlingen startes.
35
10. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori mutasjonen velges fra gruppen som består av: N34D, N34T og G35V.

11. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori mutasjonen velges fra gruppen som består av: I133M, F145S, P146R, L167V og L180W.
- 5 12. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori mutasjonen velges fra gruppen som består av: R196G, M208R, I219L, Q221P, N224T, I242T, Q250R og Q250H.
- 10 13. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori mutasjonen velges fra gruppen som består av: G261S, G261C og I303F.
14. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori mutasjonen velges fra gruppen som består av: K326N, F337S, E358Q og G375E.