(12) **Translation of European patent specification**

(11) **NO/EP 4114390 B1**

NORWAY

(19) NO

(51) Int Cl.

A61K 31/445 (2006.01)

A61P 3/00 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2025.02.24
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2024.12.04
(86)	European Application Nr.	21715035.8
(86)	European Filing Date	2021.03.05
(87)	The European Application's Publication Date	2023.01.11
(30)	Priority	2020.03.06, US, 202062986297 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. 3675 Market Street, Philadelpha, Pennsylvania 19104, USA WU, Xiaoyang, AMICUS THERAPEUTICS, INC. 3675 Market Street, Philadelpha, Pennsylvania 19104, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54) Title **METHODS OF TREATING FABRY DISEASE IN PATIENTS HAVING A MUTATION IN THE GLA GENE**

(56) References Cited:

WO-A2-2009/102895

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]

SUSAN OOMMEN ET AL: "Inter-assay variability influences migalastat amenability assessments among Fabry disease variants", MOLECULAR GENETICS AND METABOLISM, vol. 127, no. 1, 1 May 2019 (2019-05-01), AMSTERDAM, NL, pages 74 - 85, XP055747129, ISSN: 1096-7192, DOI: 10.1016/j.ymgme.2019.04.005

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

EMMA H. MCCAFFERTY ET AL: "Migalastat: A Review in Fabry Disease", DRUGS, vol. 79, no. 5, 1 April 2019 (2019-04-01), NZ, pages 543 - 554, XP055723938, ISSN: 0012-6667, DOI: 10.1007/s40265-019-01090-4

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

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
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

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 omfattende å administrere til pasienten en terapeutisk effektiv dose av migalastat eller et salt derav, hvori pasienten har en α-galaktosidase A-mutasjon valgt fra gruppen som består av: A29D, R38S, N53Y, Y88C, V124G, I133F, A143V, Y152N, F159C, A160D, D165N, F169I, L180V, D182G, R196T, W209R, A257T, P259S, G271A, S276T, M290V, A291S, I303T, 1303V, L310V, G360A, G360R, G375A, L394P, G411S og N419D.

2. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori migalastaten eller 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.

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.

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.

7. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–6, hvori migalastaten eller saltet derav administreres oralt.

8. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–6, hvori migalastaten eller saltet derav administreres ved injeksjon.

9. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–8, hvori pasienten er mann.

10. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1–8, hvori pasienten er kvinne.