



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 4176877 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.
A61K 31/445 (2006.01)
A61P 9/04 (2006.01)
A61P 43/00 (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.	22194251.9
(86)	European Filing Date	2018.08.28
(87)	The European Application's Publication Date	2023.05.10
(30)	Priority	2017.08.28, US, 201762550984 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	EP3675853, 2018.08.28
(73)	Proprietor	Amicus Therapeutics, Inc., 3675 Market Street, Philadelphia, PA 19104, USA
(72)	Inventor	CASTELLI, Jeff, Philadelphia, 19104, USA BARTH, Jay, Philadelphia, 19104, USA SKUBAN, Nina, Philadelphia, 19104, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54)	Title	METHODS OF ENHANCING AND/OR STABILIZING CARDIAC FUNCTION IN PATIENTS WITH FABRY DISEASE
(56)	References Cited:	US-A1- 2016 324 839 ALES LINHART: "The heart in Fabry disease - Fabry Disease", OXFORD PHARMAGENESIS, 1 January 2006 (2006-01-01), XP055927308, Retrieved from the Internet <URL:https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK11576/> [retrieved on 20220601] MEHTA A. ET AL ON BEHALF OF THE FABRY OUTCOME SURVEY INVESTIGATORS: "Enzyme replacement therapy with agalsidase alfa in patients with Fabry's disease: an analysis of registry data", LANCET, ELSEVIER, AMSTERDAM, NL, vol. 374, no. 9706, 12 December 2009 (2009-12-12), pages 1986 - 1996, XP027527330, ISSN: 0140-6736, [retrieved on 20091212], DOI: 10.1016/S0140-6736(09)61493-8 DOMINIQUE P. GERMAIN ET AL: "Treatment of Fabry's Disease with the Pharmacologic Chaperone Migalastat", THE NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE, - NEJM -, vol. 375, no. 6, 11 August 2016 (2016-08-11), US, pages 545 - 555, XP055527557, ISSN: 0028-4793, DOI: 10.1056/NEJMoa1510198 GERMAIN DP SCHIFFMANN: "Cardiac Outcomes With Long-term Migalastat Treatment in Patients With Fabry Disease: Results From Phase 3 Trials", 14TH ANNUAL WORLDSYMPOSIUM, SAN DIEGO, CA, 5 February 2018 (2018-02-05), pages LB - 18, XP055527467, Retrieved from the Internet <URL:https://www.amicusrx.com/app/uploads/World2018/World2018-Amicus-Cardiac- Outcomes-migalastat.pdf> [retrieved on 20181127]

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 stabilisering av hjertefunksjon hos en enzymerstatningsterapi (ERT)-erfaren pasient som har Fabrys sykdom, hvori pasienten administreres 123 mg fri baseekvivalent (FBE) av migalastaten eller saltet derav annenhver dag.
5
2. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 1, hvori migalastaten eller saltet derav er omfattet i en formulering, og hvori formuleringen administreres til pasienten.
10
3. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 1 eller 2, hvori pasienten har svekket midtveggfraksjonell forkortelse (MWFS) før initiering av administrering av migalastaten eller saltet derav.
15
4. Migalastat eller et salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 3, hvori migalastaten eller saltet derav øker α -galaktosidase A-aktivitet.
5. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 4, hvori pasienten administreres 123 mg av migalastat fri base annenhver dag.
20
6. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 4, hvori pasienten administreres 150 mg av migalastathydroklorid annenhver dag.
7. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 2 til 6, hvori formuleringen omfatter en oral doseringsform.
25
8. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge krav 7, hvori den orale doseringsformen omfatter en tablett, en kapsel eller en løsning.
30
9. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 8, hvori migalastaten eller saltet derav administreres i minst 12 måneder eller i minst 24 måneder.
10. Migalastat eller salt derav for anvendelse ifølge et hvilket som helst av kravene 1 til 9, hvori pasienten har en HEK-analysemottakelig mutasjon i α -galaktosidase A.
35