

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

PATENTTI- JA REKISTERIHALLITUS
PATENT- OCH REGISTERSTYRELSEN
FINNISH PATENT AND REGISTRATION OFFICE

(10) **FI/EP3840753 T3**
(12) **EUROOPPAPATENTIN KÄÄNNÖS**
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT
TRANSLATION OF EUROPEAN PATENT SPECIFICATION

- (45) Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning - **30.10.2024**
Translation available to the public
- (97) Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för **24.07.2024**
det europeiska patentet - Date of grant of European patent
- (51) Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
A61K 31/445 (2006 . 01)
A61P 3/00 (2006 . 01)
- (96) Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan - **EP19703514.0**
European patent application
- (22) Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date **16.01.2019**
- (97) Patenttihakemuksen julkiseksitilopäivä - Patentansökans **30.06.2021**
publiceringsdag - Patent application available to the public
- (86) Kansainvälinen hakemus - Internationell **16.01.2019 PCT/US2019013761**
ansökan - International application
- (30) Etuoikeus - Prioritet - Priority
20.08.2018 US US201862719962 P

- (73) Haltija - Innehavare - Holder
1• Amicus Therapeutics, Inc. , 3675 Market Street , Philadelphia, PA 19104 , (US)
- (72) Keksijä - Uppfinnare - Inventor
1• BENJAMIN, Elfrida , Amicus Therapeutics, Inc., 1 Cedar Brook Drive , Cranbury, New Jersey 08512 , (US)
- (74) Asiamies - Ombud - Agent
Papula Oy , P.O.Box 981 , 00101 Helsinki , (FI)
- (54) Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention
MIGALASTAATTI KÄYTETTÄVÄKSI FABRYN TAUDIN HOITOMENETELMISSÄ POTILAILLA JOILLA ON GLA-GEENIN MUTAATIO
MIGALASTAT FOR USE IN METHODS OF TREATING FABRY DISEASE IN PATIENTS HAVING A MUTATION IN THE GLA GENE

PATENTTIVAATIMUKSET

1. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi Fabryn taudin hoitomenetelmässä sitä tarvitsevalla ihmispotilaalla, joka menetelmä käsittää migalastaatin tai sen suolan terapeuttisesti tehokkaan annoksen antamisen potilaalle, jossa potilaalla on α -galaktosidaasi A-mutaatio, joka on valittu ryhmästä, joka koostuu seuraavista: Y88S ja R392T.

2. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa migalastaattia tai sen suolaa annetaan potilaalle joka toinen päivä.

3. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa potilaalle annetaan noin 100-150 mg migalastaatin, tai sen suolan, vapaan emäksen ekvivalenttia joka toinen päivä.

4. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa potilaalle annetaan noin 123 mg migalastaatin, tai sen suolan, vapaan emäksen ekvivalenttia joka toinen päivä.

5. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa potilaalle annetaan noin 123 mg migalastaatin vapaata emästä joka toinen päivä.

6. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa potilaalle annetaan noin 150 mg migalastaattihydrokloridia joka toinen päivä.

7. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-6 mukaisesti, jossa migalastaatti tai sen suola annetaan suun kautta.

8. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-6 mukaisesti, jossa migalastaatti tai sen suola annetaan injektiona.

9. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-8 mukaisesti, jossa migalastaatti tai sen suola tehostaa α -galaktosidaasi A:n aktiivisuutta.

10. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-9 mukaisesti, jossa potilas on mies.

5 11. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-9 mukaisesti, jossa potilas on nainen.

12. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-11 mukaisesti, jossa mutaatio on Y88S.

10 13. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-11 mukaisesti, jossa mutaatio on R392T.