

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP3096756 T3

(12)

**EUROOPPAPATENTIN KÄÄNNÖS
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT
TRANSLATION OF EUROPEAN PATENT SPECIFICATION**

(45)

Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning -
Translation available to the public

14.08.2024

(97)

Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för
det europeiska patentet - Date of grant of European patent

12.06.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification

A61K 31/427 (2006 . 01)

A61K 31/519 (2006 . 01)

A61K 31/4985 (2006 . 01)

A61P 5/38 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP15702917.4

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

21.01.2015

(97)

Patenttihakemuksen julkiseksitulosopäivä - Patentansökans
publiceringsdag - Patent application available to the public

30.11.2016

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

21.01.2015 PCT/US2015012315

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

21.01.2014 US US201461929941 P

27.10.2014 US US201462069155 P

17.04.2014 US US201461981033 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1 • NEUROCRINE BIOSCIENCES, INC., 12790 El Camino Real , San Diego, CA 92130-1102 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1 • GRIGORIADIS, Dimitri, E., 10626 Gingerwood Cove , San Diego, California 92130 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Zacco Sweden AB, P.O. Box 5581 Löjtnantsgatan 21 , 114 85 Stockholm , (SE)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

CRF1-RESEPTORIN ANTAGONISTEJA SYNNYNNÄISEN LISÄMUNUAISEN LIIKAKASVUN HOITON

CRF1 RECEPTOR ANTAGONISTS FOR THE TREATMENT OF CONGENITAL ADRENAL HYPERPLASIA

5 Patenttivaatimukset

1. CRF₁-reseptorin antagonisti käytettäväksi menetelmässä synnyynnäisen lisämunuaisen liikakasvun (CAH) hoitoon hoidettavalla, jolloin CRF₁-reseptorin antagonistia otetaan

(i) nukkumaan mennessä tai

10 (ii) 2–5 tuntia ennen adrenokortikotrooppisen hormonin (ACTH) odotettua vuorokausittaista vapautumista, jolloin odotettu ACTH:n odotettu vuorokausittainen vapautuminen on klo 1–2 yöllä; ja

jolloin CRF₁-reseptorin antagonisti on 4-(2-kloori-4-metoksi-5-metyylifenyyli)-*N*-[(1*S*)-2-syklopropyyli-1-(3-fluori-4-metyylifenyyli)etyyli]-5-metyyli-*N*-(2-propyn-1-yyli)-2-

15 tiatsoliamiini (SSR-125543) tai 4-(2-kloori-4-metoksi-5-metyylifenyyli)-*N*-[(1*S*)-2-syklopropyyli-1-(3-fluori-4-metyylifenyyli)etyyli]-5-metyyli-*N*-(2-propyn-1-yyli)-2-tiatsoliamiinihydrokloridi (SSR-125543A).

2. Patenttivaatimuksen 1 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin
20 CRF₁-reseptorin antagonistia otetaan 2–4 tuntia ennen odotettua ACTH:n vuorokausittaista vapautumista.

3. Patenttivaatimuksen 1 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin
25 CRF₁-reseptorin antagonistia otetaan 3–5 tuntia ennen odotettua ACTH:n vuorokausittaista vapautumista.

4. Patenttivaatimuksen 1 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin
30 CRF₁-reseptorin antagonistia otetaan 3–4 tuntia ennen odotettua ACTH:n vuorokausittaista vapautumista.

5. Jonkin edellä olevan patenttivaatimuksen mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin CRF₁-reseptorin antagonistia otetaan yhdessä glukokortikoidin kanssa,

(a) jolloin

35 (i) tutkittava on täysi-ikäinen CAH-potilas

(ii) glukokortikoidi valitaan hydrokortisonista (HC), prednisonista, prednisolonista, deksametasonista ja fludrokortisonista, ja

5 (iii) ylläpitohoitoon suositeltua määrää vähennetään noin 10 %, 15 %, 20 %, 30 %, 40 %, 50 %, 60 % tai enemmän suositelluista annoksista, jotka ovat 15–25 mg/vrk HC:tä; 5–7,5 mg/vrk prednisonia, 4–6 mg/vrk prednisolonia; 0,25–0,5 mg/vrk deksametasonia tai 0,05–0,2 mg/vrk fludrokortisonia; tai

(b) jolloin

10 (i) tutkittava on kasvava CAH-potilas
(ii) glukokortikoidi valitaan hydrokortisonista (HC) ja fludrokortisonista, ja
(iii) HC:n suositeltua kokonaisannosta 10–15 mg/m² vuorokaudessa tai fludrokortisonin kokonaisannosta 0,05–0,2 mg/vrk pienennetään 10 %, 15 %, 20 %, 30 %, 40 %, 50 %, 60 % tai enemmän.

15

6. Patenttivaatimuksen 5 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidi on hydrokortisoni.

20 **7.** Patenttivaatimuksen 5 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidi on prednisoni.

8. Patenttivaatimuksen 5 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidi on prednisoloni.

25

9. Patenttivaatimuksen 5 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidi on deksametasoni.

30 **10.** Patenttivaatimuksen 5 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidi on fludrokortisoni.

11. Jonkin patenttivaatimuksen 5–10 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidin annosta pienennetään 15 % tai enemmän mainitun glukokortikoidin suositellusta hoidettavan vuorokausiannoksesta.

35

- 5 **12.** Jonkin patenttivaatimuksen 5–11 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidin annosta pienennetään 20 % tai enemmän mainitun glukokortikoidin suositellusta hoidettavan vuorokausiannoksesta.
- 10 **13.** Jonkin patenttivaatimuksen 5–12 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidin annosta pienennetään 30 % tai enemmän mainitun glukokortikoidin suositellusta hoidettavan vuorokausiannoksesta.
- 15 **14.** Jonkin patenttivaatimuksen 5–13 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidin annosta pienennetään 40 % tai enemmän mainitun glukokortikoidin suositellusta hoidettavan vuorokausiannoksesta.
- 20 **15.** Jonkin patenttivaatimuksen 5–14 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin glukokortikoidin annosta pienennetään 50 % tai enemmän mainitun glukokortikoidin suositellusta hoidettavan vuorokausiannoksesta.
- 25 **16.** Jonkin edellä olevan patenttivaatimuksen mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin CAH johtuu 21- α -hydroksylaasipuutoksesta.
- 30 **17.** Jonkin patenttivaatimuksen 1–15 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin CAH johtuu 11 β -hydroksylaasipuutoksesta.
- 30 **18.** Jonkin edellä olevan patenttivaatimuksen mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonisti, jolloin CRF₁-reseptorin antagonistin on SSR-125543.
- 30 **19.** Jonkin patenttivaatimuksen 1–18 mukaisesti käytettävä CRF₁-reseptorin antagonistin on SSR-125543A.