

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP3914247 T3

(12)

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

(45)

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

16.02.2025

(97)

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

13.11.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
A61K 31/445 (2006 . 01)
A61P 9/00 (2006 . 01)
A61P 25/00 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP20708283.5

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

22.01.2020

(97)

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

01.12.2021

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

22.01.2020 PCT/US2020014531

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

22.01.2019 US US201962795524 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• Amicus Therapeutics, Inc. , 3675 Market Street , Philadelphia, PA 19104 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• SKUBAN, Nina , Amicus Therapeutics, Inc. 1 Cedar Brook Drive , Cranbury, New Jersey 08512 , (US)
2• LAGAST, Hjalmar , 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

MIGALOSTAATIN KÄYTTÖ ALENNETTAESSA AIVOVERISUONITAPAHTUMAN RISKIÄ POTILAISSA, JOILLA ON FABRYN TAUTI
USE OF MIGALOSTAT IN REDUCING THE RISK OF CEREBROVASCULAR EVENT IN PATIENTS WITH FABRY DISEASE

PATENTTIVAATIMUKSET

1. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi menetelmässä aivoverisuonitapahtuman (CBV-tapahtuman) riskin alentamiseksi potilaassa, jolla on Fabryn tauti, menetelmän käsittäessä tehokkaan määrän migalastaattia tai sen suolaa antamisen potilaalle joka toinen päivä vähintään 2 vuoden ajan, jossa tehokas annos on noin 100 mg - noin 150 mg vapaa emäs-ekvivalenttia (FBE).
2. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa CBV-tapahtuma käsittää yhden tai useampia seuraavista: aivorunkoisemia, aivoinfarkti, aivoverenvuoto, aivoiskemia, aivoverenkiertohäiriö, embolinen aivohalvaus tai ohimenevä aivoverenkiertohäiriö.
3. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 tai 2 mukaisesti 1 or 2, jossa migalastaatti tai sen suola tehostaa α -galaktosidaasi A -aktiivisuutta.
4. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukaisesti, jossa potilaalle annetaan noin 123 mg FBE migalastaattia tai sen suolaa joka toinen päivä.
5. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-4 mukaisesti, jossa potilaalle annetaan noin 150 mg migalastaattihydrokloridia joka toinen päivä.
6. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-5 mukaisesti, jossa formulaatio käsittää oraalisen annosmuodon.
7. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 6 mukaisesti, jossa oraalinen annosmuoto käsittää tabletin, kapselin tai liuoksen.
8. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-7 mukaisesti, jossa migalastaattia tai sen suolaa annetaan vähintään 3 vuoden ajan tai vähintään 4 vuoden ajan.

9. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-8 mukaisesti, jossa potilaalla ei ole ollut ensimmäistä CBV-tapahtumaa ennen migalastaatin tai sen suolan antamisen aloittamista.

5 10. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-8 mukaisesti, jossa potilaalla on ollut ensimmäinen CBV-tapahtuma ennen migalastaatin tai sen suolan antamisen aloittamista.

10 11. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-10 mukaisesti, jossa potilas on entsyymikorvaushoitoa (ERT) kokematon potilas.

15 12. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-10 mukaisesti, jossa potilas on ERT:n kokenut potilas.

 13. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-12 mukaisesti, jossa potilaalla on HEK-määrittelyyn soveltuva mutaatio α -galaktosidaasi A:ssa.

20 14. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 13 mukaisesti, jossa mutaatio on tuotu esiin farmakologisessa viitetaulukossa.

25 15. Migalastaatti tai sen suola käytettäväksi patenttivaatimuksen 14 mukaisesti, jossa farmakologinen viitetaulukko esitetään Fabryn taudin hoitoon hyväksytyn migalastaattituotteen tuote-etiketissä.