

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

EP/EP3364958 T3

(12)

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

(45)

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

06.04.2023

(97)

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

04.01.2023

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification

C07D 307/33 (2006 . 01)

C07F 7/08 (2006 . 01)

C07C 237/30 (2006 . 01)

C07C 237/06 (2006 . 01)

C07C 233/49 (2006 . 01)

C07D 257/04 (2006 . 01)

C07C 229/28 (2006 . 01)

A61K 38/00 (2006 . 01)

C07C 311/06 (2006 . 01)

A61K 45/06 (2006 . 01)

C07C 311/13 (2006 . 01)

A61K 31/198 (2006 . 01)

A61K 31/223 (2006 . 01)

A61K 31/275 (2006 . 01)

A61K 31/41 (2006 . 01)

A61K 31/695 (2006 . 01)

C07C 261/04 (2006 . 01)

C07C 311/51 (2006 . 01)

A61K 31/135 (2006 . 01)

A61K 31/137 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP16858326.8

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

(97)

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

29.08.2018

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

21.10.2016 PCT/US2016058188

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

23.10.2015 US US201562245553 P

13.05.2016 US US201662336219 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• Navitor Pharmaceuticals, Inc. , 1030 Massachusetts Avenue Suite 410 , Cambridge, Massachusetts 02138 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• FETALVERO, Kristina Michelle , 51 Gloucester Street Apt. B1 , Boston, Massachusetts 02115 , (US)

2• NARAYAN, Sridhar , 22 Thomas Street , Belmont, Massachusetts 02478 , (US)

3• O'NEILL, David John , 9 Teele Street Unit 9 , Arlington, Massachusetts 02474 , (US)

4• SAIAH, Eddine , 19 Kenwood Street , Brookline, Massachusetts 02446 , (US)

5• SENGUPTA, Shomit , 35 Marion Road , Belmont, Massachusetts 02478 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Budde Schou A/S , Dronningens Tværgade 30 , 1302 Copenhagen K , (DK)

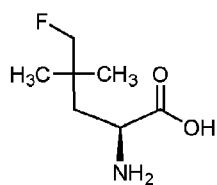
(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

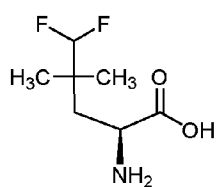
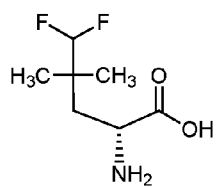
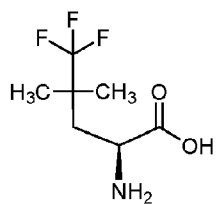
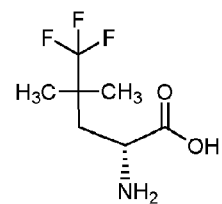
**SESTRIININ JA GATOR2:N VUOROVAIKUTUKSEN MODULAATTOREITA JA NIIDEN KÄYTTÖTAPOJA
MODULATORS OF SESTRIN-GATOR2 INTERACTION AND USES THEREOF**

PATENTTIVAATIMUKSET

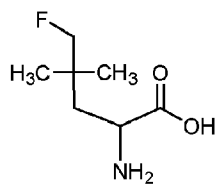
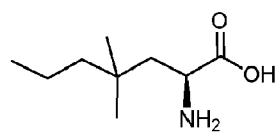
1. Yhdiste, joka valitaan seuraavien joukosta:

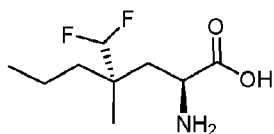
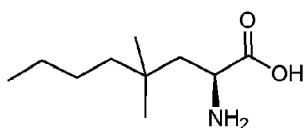
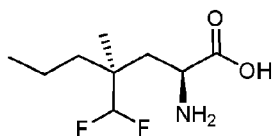
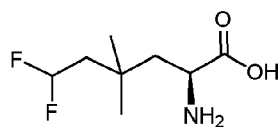
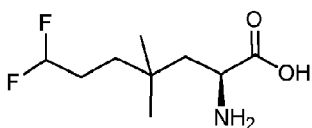


5

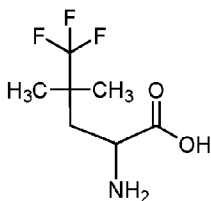
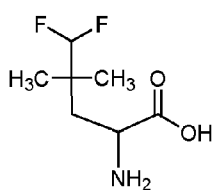
I-63**I-90****I-91****I-128****I-129**

10

**I-196****I-210**

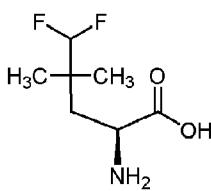
**I-229****I-230****I-232****I-234****I-238**

5

**I-251****I-252**

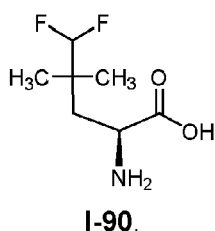
tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola.

10 **2.** Patenttivaatimuksen 1 mukainen yhdiste, jolloin mainittu yhdiste on

**I-90**

tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola.

3. Patenttivaatimuksen 1 mukainen yhdiste, jolloin mainittu yhdiste on



4. Farmaseuttisesti hyväksyttävä koostumus, joka käsittää patenttivaatimuksen 1, 2 tai 3 mukaista yhdistettä ja farmaseuttisesti hyväksyttävää kantoainetta, adjuvanttia tai vehikkeliä; mahdollisesti yhdessä muun terapeuttisen aineen kanssa; jolloin mahdollisesti muu terapeuttinen aine on antiproliferatiivinen yhdiste.

5. *In vitro* -menetelmä sestriinin ja GATOR2:n välisen vuorovaikutuksen moduloimiseksi, millä moduloidaan selektiivisesti mTORC1-aktiivisuutta epäsuoraan biologisessa näytteessä, jolloin menetelmä käsittää vaiheen, jossa mainittu biologinen näyte saatetaan yhteen patenttivaatimuksen 1, 2 tai 3 mukaisen yhdisteen kanssa.

6. Patenttivaatimuksen 4 mukainen koostumus käytettäväksi sestriinin ja GATOR2:n välisen vuorovaikutuksen moduloinnissa, millä moduloidaan selektiivisesti mTORC1-aktiivisuutta epäsuoraan, käytettäväksi seuraavien hoidossa: (I) syöpä, joka valitaan seuraavien joukosta: leukemiat, jotka valitaan akuutin leukemian, akuutin lymfosyyttisen leukemian, akuutin myelosyyttisen leukemian, akuutin myeloblastisen leukemian, akuutin promyelosyyttisen leukemian, akuutin myelomonosyyttisen leukemian, akuutin monosyyttisen leukemian, akuutin erytroleukemian, kroonisen leukemian, kroonisen myelosyyttisen leukemian, kroonisen lymfosyyttisen leukemian, polysytemia veran joukosta, lymfooma, joka valitaan Hodgkinin taudin tai non-Hodgkin-taudin, Waldenströmin makroglobulinemian, multippelin myelooman, raskasketjutaudin joukosta, ja kiinteät kasvaimet, kuten sarkoomat ja karsinoomat, jotka valitaan fibrosarkooman, myksosarkooman, liposarkooman, kondrosarkooman, osteogeenisen sarkooman, kordooman, angiosarkooman, endoteliosarkooman, lymfangiosarkooman,

lymfangioendoteliosarkooman, synoviooman, mesoteliooman, Ewingin kasvaimen, leiomyosarkooman, rhabdomyosarkooman, paksusuolen karsinooman, haimasyövän, rintasyövän, munasarjasyövän, eturauhassyövän, levyepiteelisolukarsinooman, tyvisolukarsinooman, adenokarsinooman, hikirauhaskarsinooman, talirauhaskarsinooman, papillaarisen karsinooman, papillaaristen adenokarsinoomien, kystadenokarsinooman, medullaarisen karsinooman, bronkogeenisen karsinooman, munuaissolukarsinooman, hepatooman, sappitiehyen karsinooman, istukkakarsinooman, seminooman, embryonaalisen karsinooman, Wilmin kasvaimen, kohdunkaulan syövän, kohtusyövän, kivessyövän, keuhkokarsinooman, pienisoluisen keuhkokarsinooman, virtsarakkokarsinooman, epiteelikarsinooman, gliooman, astrozytooman, medulloblastooman, kraniofaryngiooman, ependymooman, pinealooman, hemangioblastooman, kuulohieron neuroooman, oligodendrogliooman, schwannooman, meningiooman, melanooman, neuroblastooman ja retinoblastooman joukosta

(II) proliferaatiiviset sairaudet, jotka valitaan liikalihavuuden, hyvänlaatuisen eturauhasen liikakasvun, psoriaasin, poikkeavan keratinisoitumisen joukosta, lymfoproliferaatiivisten häiriöiden, jolloin mainittu häiriö on häiriö, jossa imusuonistossa tapahtuu poikkeavaa solujen proliferaatiota, kroonisen nivelreuman, arterioskleroosin, restenoosin ja diabeettisen retinopatian joukosta, tai (III)

ribosomopatiat, jotka valitaan Blackfan-Diamondin taudin, 5q-oireyhtymän, Shwachman-Diamondin oireyhtymän, X-kromosaaalisesti periytyvän dyskeratoosin, rusto-hiushypoplasian tai Treacher Collinsin oireyhtymän joukosta, kohesinopatiat, jotka valitaan Robertsin oireyhtymän tai Cornelia de Lange -oireyhtymän joukosta, lihasatrofia, autofagia tai masennus.

25

7. Patenttivaatimuksen 6 mukainen koostumus, jolloin koostumus on tarkoitettu käytettäväksi masennuksen hoidossa.

8. Patenttivaatimuksen 4 mukainen koostumus käytettäväksi mTORC1:n välittämän häiriön hoidossa, jolloin mTORC1:n välittämä häiriö on

30

- (I) syöpä, joka valitaan seuraavien joukosta: leukemiat, jotka valitaan akuutin leukemian, akuutin lymfosyyttisen leukemian, akuutin myelosyyttisen leukemian, akuutin myeloblastisen leukemian, akuutin promyelosyyttisen leukemian, akuutin myelomonosyyttisen leukemian, akuutin monosyyttisen leukemian, akuutin erytroleukemian, kroonisen leukemian, kroonisen myelosyyttisen leukemian, kroonisen lymfosyyttisen leukemian, polysytemia veran joukosta, lymfooma, joka valitaan Hodgkinin taudin tai non-Hodgkin-taudin, Waldenströmin makroglobulinemian, multippelin myelooman, raskasketjutaudin joukosta, ja kiinteät kasvaimet, kuten sarkoomat ja karsinoomat, jotka valitaan fibrosarkooman, myksosarkooman, liposarkooman, kondrosarkooman, osteogeenisen sarkooman, kordooman, angiosarkooman, endoteliosarkooman, lymfangiosarkooman, lymfangioendoteliosarkooman, synoviooman, mesoteliooman, Ewingin kasvaimen, leiomyosarkooman, rhabdomyosarkooman, paksusuolen karsinooman, haimasyövän, rintasyövän, munasarjasyövän, eturauhassyövän, levyepiteelisolukarsinooman, tyvisolukarsinooman, adenokarsinooman, hikirauhaskarsinooman, talirauhaskarsinooman, papillaarisen karsinooman, papillaaristen adenokarsinoomien, kystadenokarsinooman, medullaarisen karsinooman, bronkogeenisen karsinooman, munuaissolukarsinooman, hepatooman, sappitiehyen karsinooman, istukkakarsinooman, seminooman, embryonaalisen karsinooman, Wilmin kasvaimen, kohdunkaulan syövän, kohtusyövän, kivessyövän, keuhkokarsinooman, pienisoluisen keuhkokarsinooman, virtsarakkokarsinooman, epiteelikarsinooman, gliooman, astrozytooman, medulloblastooman, kraniofaryngiooman, ependymooman, pinealooman, hemangioblastooman, kuulohieron neuroooman, oligodendrogliooman, schwannooman, meningiooman, melanooman, neuroblastooman ja retinoblastooman joukosta
- (II) proliferatiivinen sairaus, joka valitaan liikalihavuuden, hyvänlaatuisen eturauhasen liikakasvun, psoriaasin, poikkeavan keratinisoitumisen joukosta, lymfoproliferatiivisten häiriöiden, jolloin mainittu häiriö on häiriö, jossa imusuonistossa tapahtuu poikkeavaa solujen proliferaatiota, kroonisen nivelreuman, arterioskleroosin, restenoosin ja diabeettisen retinopatian joukosta, tai (III) ribosomopatiat, jotka valitaan Blackfan-Diamondin taudin, 5q-oireyhtymän,

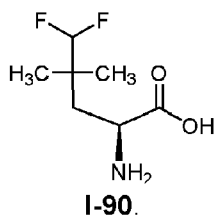
Shwachman-Diamondin oireyhtymän, X-kromosaalisesti periytyvän dyskeratoosin, rusto-hiushypoplasian tai Treacher Collinsin oireyhtymän joukosta, kohesinopiat, jotka valitaan Robertsin oireyhtymän tai Cornelia de Lange -oireyhtymän joukosta, lihasatrofia, autofagia tai masennus.

5

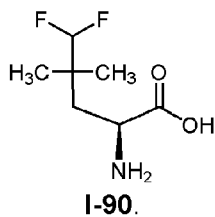
9. Patenttivaatimuksen 8 mukaisesti käytettävä koostumus, jolloin häiriö on masennus.

10. Patenttivaatimuksen 7 mukaisesti käytettävä koostumus, jolloin mainittu yhdiste on

10



11. Patenttivaatimuksen 9 mukaisesti käytettävä koostumus, jolloin mainittu yhdiste on



15