(19) REPUBLIKA HRVATSKA
DRŽAVNI ZAVOD ZA
INTELEKTUALNO VLASNIŠTVO

(10) Identifikator dokumenta: **HR P20151279 T1**

HR P20151279 T1

(12) PRIJEVOD PATENTNIH ZAHTJEVA EUROPSKOG PATENTA

(51) MKP:
A01N 43/40 (2006.01)
A61K 31/445 (2006.01)
A61P 3/00 (2006.01)
A61P 43/00 (2006.01)

(46) Datum objave prijevoda patentnih zahtjeva: 01.01.2016.

(21) Broj predmeta: P20151279T

(22) Datum podnošenja zahtjeva u HR: 26.11.2015.

(86) Broj međunarodne prijave: PCT/US2010051458
Datum podnošenja međunarodne prijave: 05.10.2010.

(96) Broj europske prijave patenta: EP 10825397.2
Datum podnošenja europske prijave patenta: 05.10.2010.

(87) Broj međunarodne objave: WO 2011049737
Datum međunarodne objave: 28.04.2011.

(97) Broj objave europske prijave patenta: EP 2490533 A1
Datum objave europske prijave patenta: 29.08.2012.

(97) Broj objave europskog patenta: EP 2490533 B1
Datum objave europskog patenta: 16.09.2015.

(31) Broj prve prijave: 252806 P (32) Datum podnošenja prve prijave: 19.10.2009. (33) Država ili organizacija podnošenja prve prijave: US

(73) Nositelj patenta: **Amicus Therapeutics, Inc., 1 Cedar Brook Drive, Cranbury,08512 NJ, US**
(72) Izumitelji: **Robert Boyd, 3 Danbridge Drive, Horsham, 19044 PA, US**
Gary Lee, 7 Leeds Court, West Windsor, 08550 NJ, US
Philip Rybczynski, 29 Tuscarora Trail, Branchburg, 08876 NJ, US

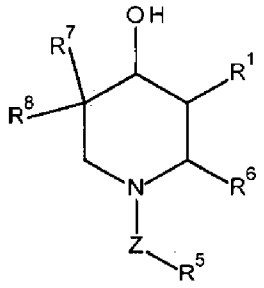
(74) Zastupnik: PRODUCTA d.o.o., 10000 Zagreb, HR

(54) Naziv izuma: **NOVI PRIPRAVCI ZA SPRJEČAVANJE I/ILI LIJEČENJE POREMEĆAJA LIZOSOMSKOG NAKUPLJANJA**

HR P20151279 T1

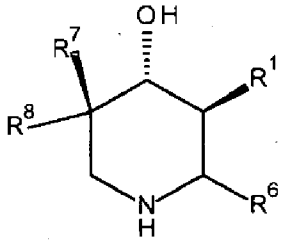
PATENTNI ZAHTJEVI

1. Spoj s Formulom II:



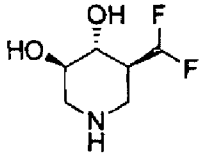
pri čemu:
R^1 je $C(R^2)(R^3)(R^4)$;
R^2 je vodik, -OH ili halogen;
R^3 je vodik, -OH, halogen ili $-CH_3$;
R^4 je halogen, $-CH_3$, fenil, fluorofenil, metilfenil, cikloheksilmetil,
pri čemu kada R^4 je halogen oba R^2 i R^3 ne mogu biti vodik;
R^3 i R^4 se mogu spojiti s ugljikovim atomom na koji su oni vezani tako da tvore cikloalkilni prsten, koji može proizvoljno biti supstituiran s jednim ili više atoma halogena;
R^6 je vodik ili fenilalkil;
Z je proizvoljan, kada je prisutan Z je $-(CH_2)-$, -C(=O)-, $-S(=O)_2NH-$, $-S(=O)_2-$, $-S(=O)_2-CH_2-$, C(=O)-NH-, -S(=O)2-NR^9-, -C(=S)NH- ili $-C(=O)CH_2-$;
R^9 je vodik ili CH_3;
R^5 je vodik ili aminofenilalkil;
R^7 je -OH ili halogen; i
R^8 je vodik, halogen ili $-CH_3$,
pod uvjetom da R^2 i R^3 ne mogu oba biti vodik kada R^4 je halogen, i kada Z nije prisutan, R^7 je -OH, R^5, R^6 i R^8 su vodik;
ili njihova farmaceutski prihvatljiva sol ili solvat;
naznačen time da je za uporabu za prevenciju i/ili liječenje poremećaja lizosomskog nakupljanja kod pacijenta koji ima rizik za razvoj ili mu je isti dijagnosticiran.

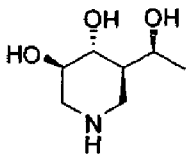
2. Spoj za uporabu prema zahtjevu 1, **naznačen time** da spoj ima Formulu III:

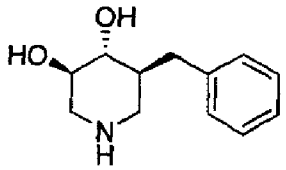
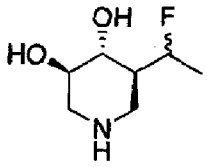
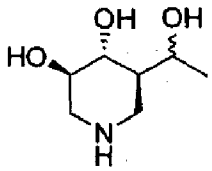
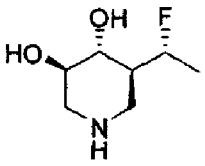
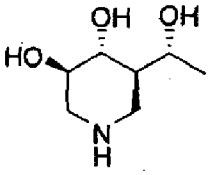
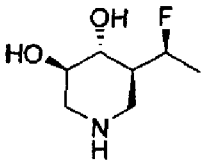
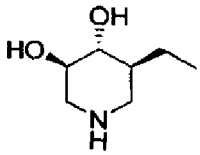
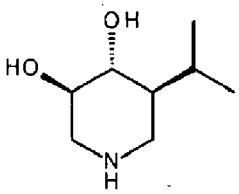
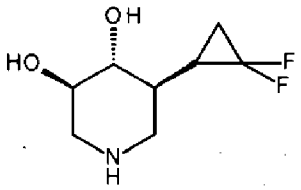
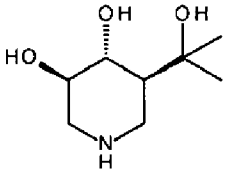
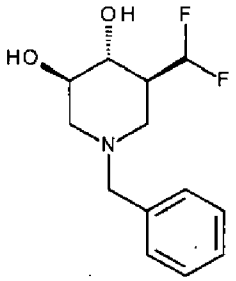
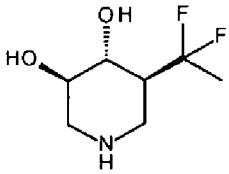
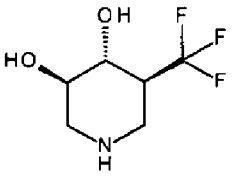
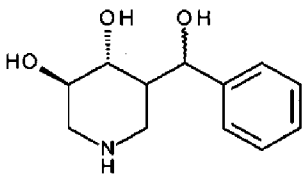
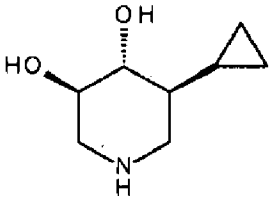


pri čemu
R^1 je $C(R^2)(R^3)(R^4)$;
R^2 je vodik, -OH ili halogen;
R^3 je vodik, -OH, halogen ili $-CH_3$;
R^4 je halogen, $-CH_3$, fenil, fluorofenil, metilfenil, cikloheksilmetil, pri čemu kada R^4 je halogen oba R^2 i R^3 ne mogu biti vodik;
R^3 i R^4 se mogu spojiti s ugljikovim atomom na koji su oni vezani tako da tvore cikloalkilni prsten, koji može proizvoljno biti supstituiran s jednim ili više atoma halogena;
R^7 je -OH; R^6 je vodik; i
R^8 je vodik,
pod uvjetom da R^2 i R^3 ne mogu oba biti vodik kada R^4 je halogen.

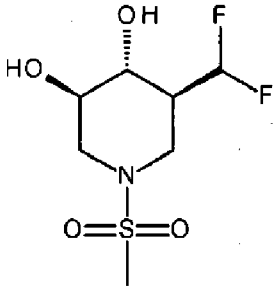
3. Spoj koji je izabran od:

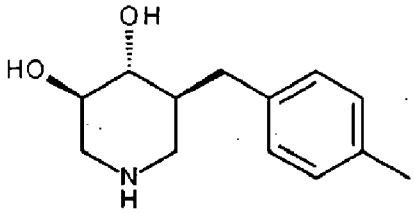


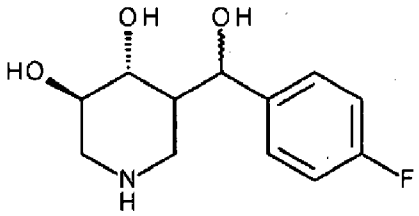


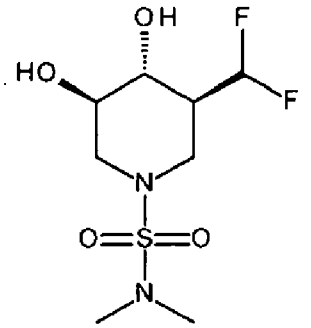
















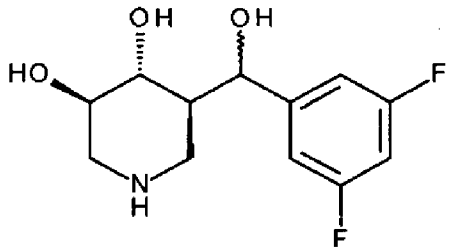
5

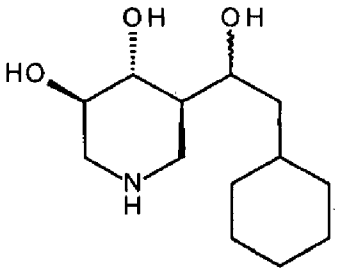


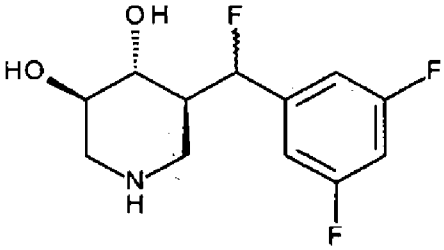


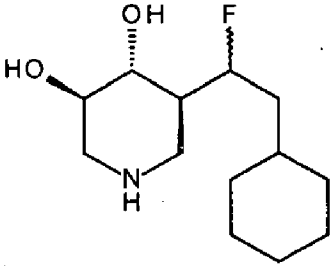


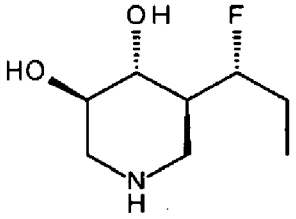


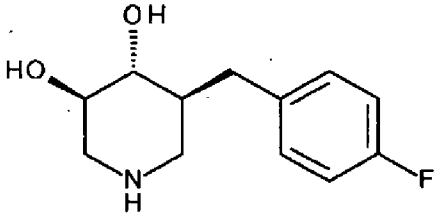


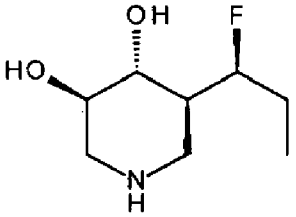


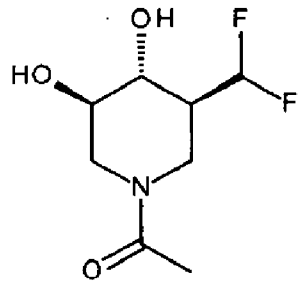






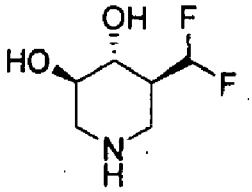






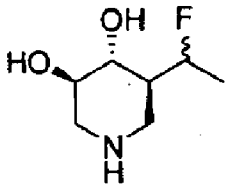
ili njihova farmaceutski prihvatljiva sol ili solvat, ili bilo koja kombinacija dva ili više od njih; **naznačen time** da je za uporabu za prevenciju i/ili liječenje poremećaja lizosomskog nakupljanja kod pacijenta koji ima rizik za razvoj ili mu je isti dijagnosticiran.

4. Spoj za uporabu prema zahtjevu 3, **naznačen time** da spoj je:



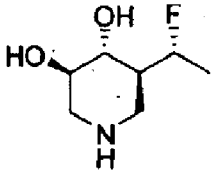
ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol ili solvat.

5. Spoj za uporabu prema zahtjevu 3, **naznačen time** da spoj je:



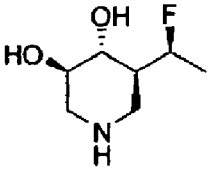
ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol ili solvat.

6. Spoj za uporabu prema zahtjevu 3, **naznačen time** da spoj je:



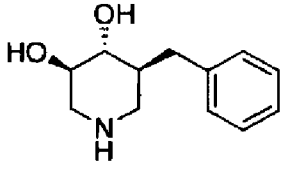
ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol ili solvat.

7. Spoj za uporabu prema zahtjevu 3, **naznačen time** da spoj je:



ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol ili solvat.

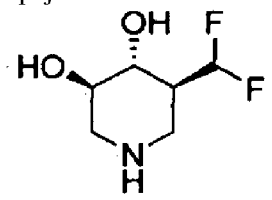
8. Spoj za uporabu prema zahtjevu 3, **naznačen time** da spoj je:



ili njegova farmaceutski prihvatljiva sol ili solvat.

9. Spoj za uporabu prema bilo kojem od prethodnih zahtjeva, **naznačen time** da poremećaj lizosomskog nakupljanja je Neimann-Pickova bolest.
10. Spoj za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 8, **naznačen time** da poremećaj lizosomskog nakupljanja je Gaucherova bolest.
11. Spoj za uporabu prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 10, **naznačen time** da je u kombinaciji s najmanje jednim drugim terapijskim sredstvom.
12. Spoj za uporabu prema zahtjevu11, **naznačen time** da najmanje jedno drugo terapijsko sredstvo je imigluceraza ili 1,5-(butilimino)-1,5-dideoksi-D-glucitol.

13. Komplet **naznačen time** da sadrži:
    - spremnik koji ima učinkovitu količinu spoja s formulom:



;

ili njegovu farmaceutski prihvatljivu sol ili solvat; te

- instrukcije korištenje istog za prevenciju ili liječenje poremećaja lizosomskog nakupljanja.