



ФЕДЕРАЛЬНАЯ СЛУЖБА  
ПО ИНТЕЛЛЕКТУАЛЬНОЙ СОБСТВЕННОСТИ

(12) **ЗАЯВКА НА ИЗОБРЕТЕНИЕ**

(21)(22) Заявка: 2019108824, 30.08.2017

Приоритет(ы):

(30) Конвенционный приоритет:  
30.08.2016 EP 16306094.0

(43) Дата публикации заявки: 01.10.2020 Бюл. № 28

(85) Дата начала рассмотрения заявки РСТ на  
национальной фазе: 01.04.2019(86) Заявка РСТ:  
EP 2017/071812 (30.08.2017)(87) Публикация заявки РСТ:  
WO 2018/041919 (08.03.2018)

Адрес для переписки:

129090, Москва, ул. Б. Спасская, 25, стр. 3, ООО  
"Юридическая фирма Городисский и  
Партнеры"

(71) Заявитель(и):

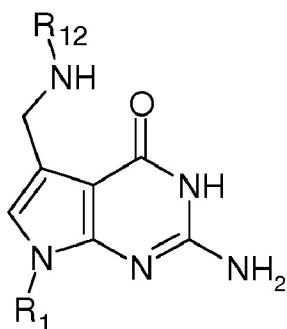
АМАБАЙОТИКС (FR)

(72) Автор(ы):

ДАНШЕН, Антуан (FR),  
СЕКОВСКАЯ, Агнешка (FR),  
ГАРНЬЕ, Патрис (IT)(54) **СОЕДИНЕНИЯ ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ЗАБОЛЕВАНИЙ, СВЯЗАННЫХ С ДИСФУНКЦИЕЙ  
МИТОХОНДРИЙ**

(57) Формула изобретения

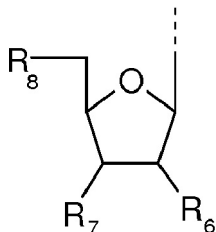
1. Соединение следующей формулы (A):



(A)

где:

- R<sub>1</sub> представляет собой -H или рибозильную группу следующей формулы:



где:

$R_6$  представляет собой -H; -O- $R_9$  или -O-CO- $R_9$ , где  $R_9$  представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, или арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода;

$R_7$  представляет собой -H; -O- $R_{10}$  или -O-CO- $R_{10}$ , где  $R_{10}$  представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, или арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода; группу дезоксирибонуклеиновой кислоты; или группу рибонуклеиновой кислоты;

$R_8$  представляет собой -H; -O- $R_{11}$  или -O-CO- $R_{11}$ , где  $R_{11}$  представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 20 атомов углерода, или арильную группу, имеющую от 3 до 20 атомов углерода; фосфатную группу; дифосфатную группу; трифосфатную группу; группу дезоксирибонуклеиновой кислоты; или группу рибонуклеиновой кислоты;

-  $R_{12}$  представляет собой насыщенную или ненасыщенную алкильную, циклоалкильную, гетероциклоалкильную или эфирную группу, имеющую от 1 до 20 атомов углерода, необязательно замещенную по меньшей мере одной группой, выбранной из группы, состоящей из:

алкильной группы, имеющей от 1 до 20 атомов углерода,  
арильной или гетероарильной группы, имеющей от 3 до 20 атомов углерода,  
циклоалкильной или гетероциклоалкильной группы, имеющей от 3 до 20 атомов углерода,

гидроксильной группы,

карбонильной или карбоксильной группы, имеющей от 1 до 20 атомов углерода,  
эпокси группы,

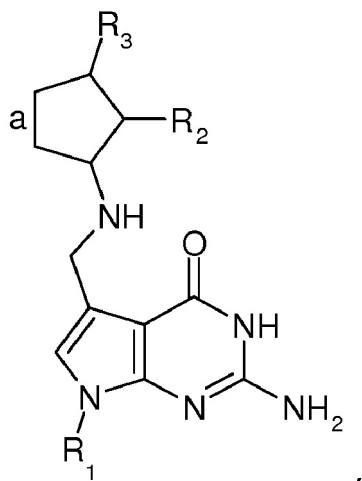
-O- $R_4$  группы, где  $R_4$  представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода, гликозильную группу или аминокислотную группу,

-O-CO- $R_5$  группы, где  $R_5$  представляет собой алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода или гликозильную группу;

или его фармацевтически приемлемую соль или гидрат,

для применения при профилактике или лечении заболеваний, связанных с дисфункцией митохондрий у индивидуума.

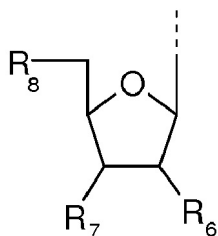
2. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по п.1, где соединение формулы (A) имеет следующую формулу (I):



(I)

где:

- а представляет собой двойную связь или эпоксигруппу, и
- R<sub>1</sub> представляет собой -H или рибозильную группу следующей формулы:



где:

R<sub>6</sub> представляет собой -H; -O-R<sub>9</sub> или -O-CO-R<sub>9</sub>, где R<sub>9</sub> представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, или арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода;

R<sub>7</sub> представляет собой -H; -O-R<sub>10</sub> или -O-CO-R<sub>10</sub>, где R<sub>10</sub> представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, или арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода; группу дезоксирибонуклеиновой кислоты; или группу рибонуклеиновой кислоты;

R<sub>8</sub> представляет собой -H; -O-R<sub>11</sub> или -O-CO-R<sub>11</sub>, где R<sub>11</sub> представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 20 атомов углерода, или арильную группу, имеющую от 3 до 20 атомов углерода; фосфатную группу; дифосфатную группу; трифосфатную группу; группу дезоксирибонуклеиновой кислоты; или группу рибонуклеиновой кислоты;

- R<sub>2</sub> и R<sub>3</sub>, которые являются одинаковыми или разными, представляют собой -O-R<sub>4</sub>, где R<sub>4</sub> представляет собой H, алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода, гликозильную группу или аминоацильную группу; или -O-CO-R<sub>5</sub>, где R<sub>5</sub> представляет собой алкильную группу, имеющую от 1 до 6 атомов углерода, арильную группу, имеющую от 3 до 12 атомов углерода или гликозильную группу.

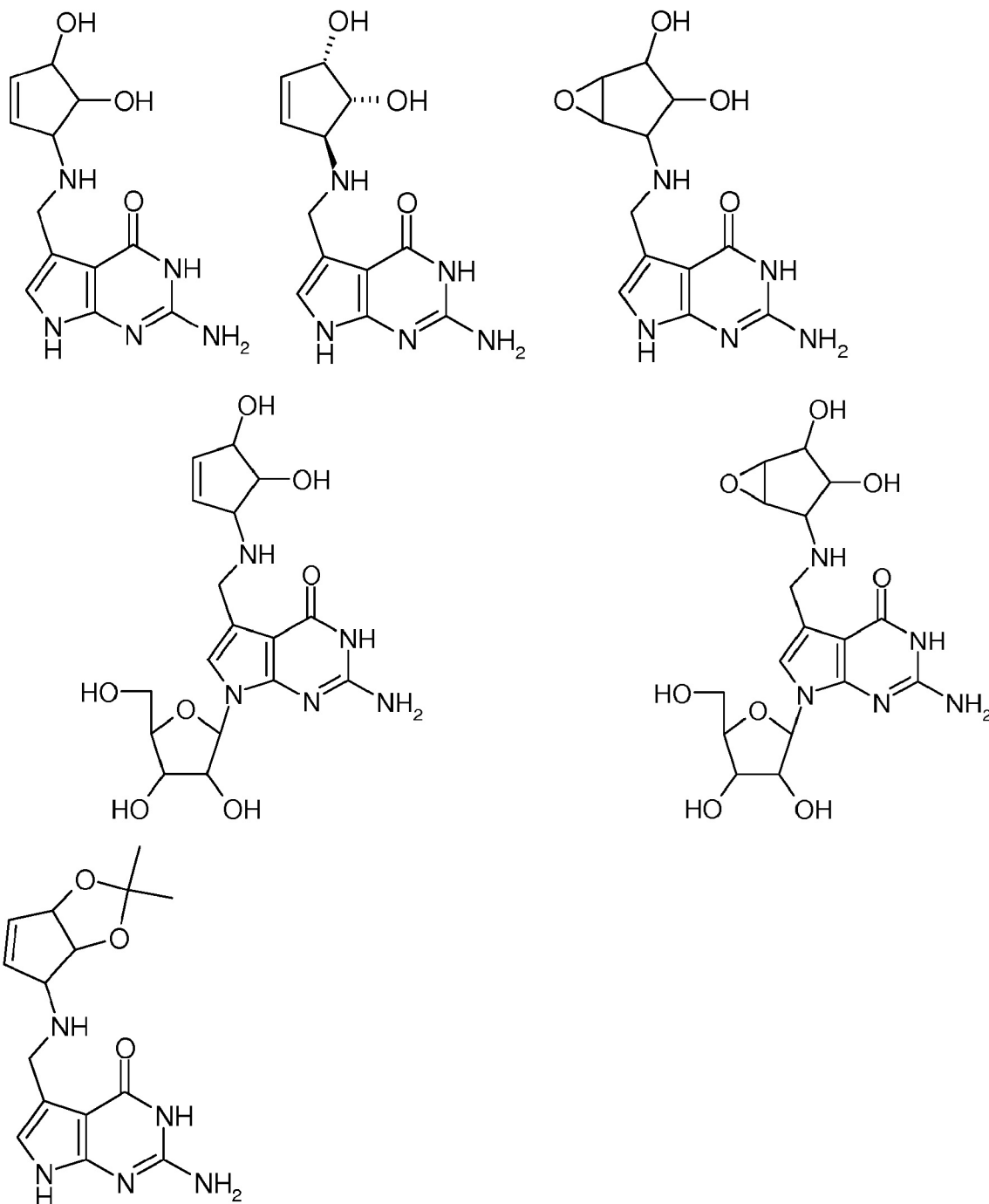
3. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по п.1 или 2, где:

- R<sub>2</sub> и R<sub>3</sub>, которые являются одинаковыми или разными, представляют собой -ОН, -О-маннозильную группу, -О-галактозильную группу или -О-глутамильную группу;
- R<sub>6</sub> представляет собой -ОН;

- R<sub>7</sub> и R<sub>8</sub>, которые являются одинаковыми или разными, представляют собой -ОН или группу рибонуклеиновой кислоты.

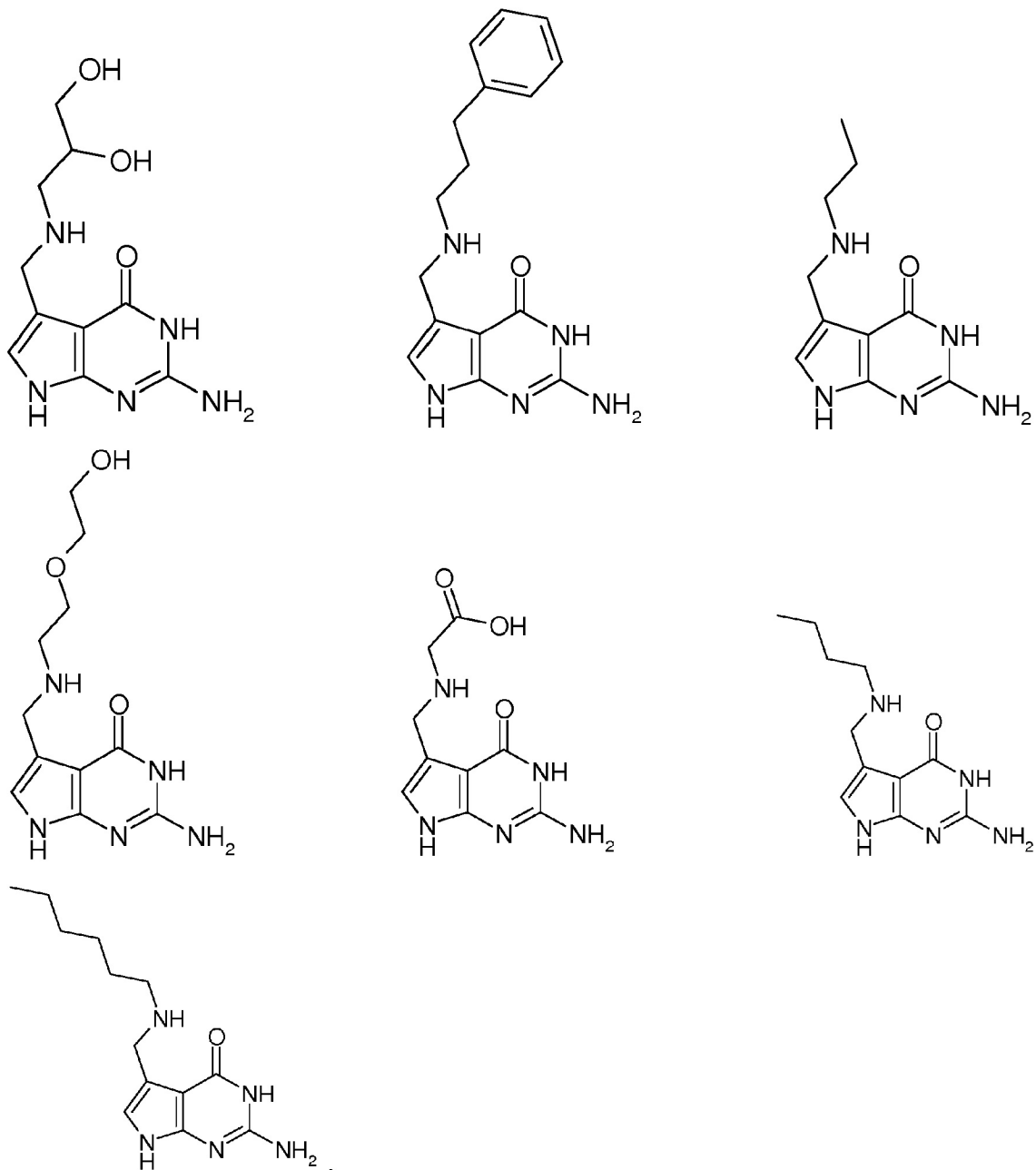
4. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по любому из пп.1-3, где соединение выбрано из группы, состоящей из квеуина, энт-квеуина, квеуозина, эпоксиквеуина, эпоксиквеуозина, маннозил-квеуина, галактозил-квеуина, глутамил-квеуина, галактозил-квеуозина, маннозил-квеуозина, глутамил-квеуозина, квеуин-тРНК и эпоксиквеуин-тРНК.

5. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по любому из пп.1-4, где соединение выбрано из группы, состоящей из соединений следующих формул:



A 4 2 8 8 2 4 A  
R U 2 0 1 9 1 6 1 0 2

R U 2 0 1 9 1 0 8 8 2 4 A



6.

Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по любому из пп.1-5, где заболевание, связанное с дисфункцией митохондрий, представляет собой нейродегенеративное заболевание, связанное с дисфункцией митохондрий.

7. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по любому из пп.1-6, где заболевание, связанное с дисфункцией митохондрий, представляет собой болезнь Паркинсона.

8. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по любому из пп.1-7 для введения при режиме дозировки от 0,01 до 40 мг/кг/день.

9. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по любому из пп.1-8 в форме, подходящей для введения пероральным путем, внутривенным путем, внутримышечным путем или подкожным путем.

10. Соединение или его фармацевтически приемлемая соль или гидрат для применения по любому из пп.1-9 в комбинации по меньшей мере с одним дополнительным соединением, которое может быть использовано для профилактики или лечения заболевания, связанного с дисфункцией митохондрий.

11. Фармацевтическая композиция, содержащая в качестве активного вещества соединение формулы (А) или его фармацевтически приемлемую соль или гидрат, определенные в любом из пп.1-5, необязательно в сочетании по меньшей мере с одним фармацевтически приемлемым вспомогательным веществом или несущей средой, для применения при профилактике или лечении заболевания, связанного с дисфункцией митохондрий в соответствии с п.1, 6 или 7, у индивидуума.

12. Фармацевтическая композиция, содержащая в качестве активного вещества соединение формулы (А) или его фармацевтически приемлемую соль или гидрат, определенные в любом из пп.1-5, содержащая, кроме того, по меньшей мере одно дополнительное соединение, которое может быть использовано для профилактики или лечения заболевания, связанного с дисфункцией митохондрий, необязательно в сочетании по меньшей мере с одним фармацевтически приемлемым вспомогательным веществом или несущей средой.

13. Фармацевтическая композиция по п.12 для применения при профилактике или лечении заболевания, связанного с дисфункцией митохондрий в соответствии с пп.1, 6 или 7, у индивидуума.

14. Продукты, содержащие:

- соединение формулы (А) как определено в любом из пп.1-5,
- по меньшей мере одно дополнительное соединение, которое может быть использовано для профилактики или лечения заболевания, связанного с дисфункцией митохондрий,

в виде комбинированного препарата для одновременного, отдельного или последовательного применения при профилактике или лечении заболевания, связанного с дисфункцией митохондрий в соответствии с пп.1, 6 или 7, у индивидуума.

15. Биологически активная добавка, содержащая соединение формулы (А) по любому из пп.1-5 для применения при снижении риска заболевания, связанного с дисфункцией митохондрий в соответствии с пп.1, 6 или 7, у индивидуума.

16. Биологически активная добавка по п.15, включающая дополнительные соединения, выбранные из группы, состоящей из витаминов, минеральных веществ, жирных кислот, аминокислот и антиоксидантов.