

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

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

(10)

FI/EP3801536 T3

(12)

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

(45)

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

29.08.2024

(97)

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

17.07.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
A61K 31/519 (2006 . 01)
A61K 9/00 (2006 . 01)
A61K 9/20 (2006 . 01)
A61P 3/00 (2006 . 01)
A61P 25/00 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP19811888.7

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

30.05.2019

(97)

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

14.04.2021

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

30.05.2019 PCT/US2019034523

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

30.05.2018 US US201862677943 P
22.03.2019 US US201962822376 P

26.11.2018 US US201862771398 P
28.05.2019 GC GC201937663

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• PTC Therapeutics MP, Inc. , 500 Warren Corporate Center Drive , NJ 07059 Warren , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• SMITH, Neil , 65 William Street, Suite 200 , Wellesley, MA 02481 , (US)

2• REIS, Jonathan , 65 William Street, Suite 200 , Wellesley, MA 02481 , (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

**SEPIAPTERIININ ANTAMINEN ILMAN RUOKAA KÄYTETTÄVÄKSI MENETELMÄSSÄ SEPIAPTERIININ PLASMA-ALTISTUKSEN LISÄÄMISEKSI
ADMINISTRATION OF SEPIAPTERIN WITHOUT FOOD FOR USE IN A METHOD FOR INCREASING SEPIAPTERIN PLASMA EXPOSURE**

Patenttivaatimukset

1. Sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola käytettäväksi menetelmässä BH4:ään liittyvän häiriön hoitamiseksi sen tarpeessa olevalla hoidettavalla, jolloin menetelmä käsittää sepiapteriinin tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävän suolan antamisen tehokkaana määränä hoidettavalle ilman ruokaa, jolloin

BH4:ään liittyvä häiriö on keskushermoston häiriö;

sepiapteriini annetaan suun kautta suun kautta annettavassa annostusmuodossa ja

antaminen hoidettavalle tapahtuu kahden tunnin kuluessa ruoan nauttimisesta – 30 minuuttia ennen lisäruoan nauttimista.

2. Patenttivaatimuksen 1 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin antaminen lisää sepiapteriinin plasma-altistusta hoidettavalla verrattuna ruoan kanssa antamiseen.

3. Patenttivaatimuksen 1 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin menetelmä lisää aivo-selkäydinnesteen (CSF) ja/tai aivojen sepiapteriinialtistusta hoidettavalla verrattuna antamiseen ruoan kanssa.

4. Patenttivaatimuksen 1 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin menetelmä lisää sepiapteriinin tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävän suolan suun kautta annettavan annosmuodon imeytymisnopeutta ja/tai vähentää sen perifeeristä muuntumista BH4:ksi mitattuna sepiapteriinipitoisuudella, joka saavutetaan hoidettavan plasmassa ajan myötä, verrattuna ruoan kanssa annettuun pitoisuuteen.

5. Jonkin patenttivaatimuksen 1–4 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin tehokas määrä on määrä, joka riittää saamaan aikaan pitoisuuden, joka on vähintään 0,5 ng/ml, hoidettavan plasmassa 1 tunnin sisällä antamisesta.

6. Patenttivaatimuksen 5 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin tehokas määrä käsittää annoksen, joka on vähintään 20 % pienempi kuin annos, joka riittää samaan aikaan maksimipitoisuuden hoidettavan plasmassa (C_{max}), joka on vähintään 0,5 ng/ml, 1 tunnin sisällä sepiapteriinin tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävän suolan antamisesta ruoan kanssa.

7. Jonkin patenttivaatimuksen 1–6 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin tehokas määrä on 2,5 mg/kg – 100 mg/kg annosta kohti.

8. Jonkin patenttivaatimuksen 1–7 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin antaminen hoidettavalle tapahtuu yli 30 minuuttia ennen ruoan nauttimista tai yli neljä tuntia sen jälkeen.

9. Jonkin patenttivaatimuksen 1–8 mukaisesti käytettävä sepiapteriini tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävä suola, jolloin tehokas määrä saa aikaan sepiapteriinin tai sen farmaseuttisesti hyväksyttävän suolan plasmassa, aivo-selkäydinnesteessä ja/tai aivoissa mitattavan maksimipitoisuuden (C_{max}) kasvamisen verrattuna ruoan kanssa antamiseen.