

ROYAUME DU MAROC  
-----  
OFFICE MAROCAIN DE LA PROPRIETE (19)  
INDUSTRIELLE ET COMMERCIALE  
-----



المملكة المغربية  
-----  
المكتب المغربي  
للملكية الصناعية والتجارية  
-----

## (12) BREVET D'INVENTION

(11) N° de publication : **MA 43828 B1** (51) Cl. internationale : **A61P 25/00; A61K 31/13**

(43) Date de publication :  
**30.09.2019**

---

(21) N° Dépôt :  
**43828**

(22) Date de Dépôt :  
**11.08.2017**

(30) Données de Priorité :  
**11.08.2016 GB 201613829**

(86) Données relatives à la demande internationale selon le PCT:  
**PCT/IB2017/054929 11.08.2017**

(86) N° Numéro de dépôt auprès de l'organisme de validation:EP17767934.7

(71) Demandeur(s) :  
**Intrabio Ltd, Begbroke Science Park Begbroke Hill Woodstock Road Begbroke, Oxfordshire OX5 1PF (GB)**

(72) Inventeur(s) :  
**STRUPP, Michael**

---

(54) Titre : **AGENTS THÉRAPEUTIQUES POUR MALADIES NEURODÉGÉNÉRATIVES**

(57) Abrégé : La présente invention concerne le traitement de maladies neurodégénératives comprenant l'administration d'acétyl-leucine ou d'un sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci.

EP 17 767 934.7  
INTRABIO LTD  
5 I09256WOEP

### Revendications

1. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à  
10 une utilisation dans le traitement d'une maladie neurodégénérative ou d'un ou  
de plusieurs symptômes associés à une maladie neurodégénérative chez un  
sujet qui en a besoin,  
dans laquelle la maladie neurodégénérative est choisie parmi la maladie  
d'Alzheimer, la sclérose latérale amyotrophique (SLA), l'atrophie multi  
15 systématisée à syndrome parkinsonien (AMS-P), l'atrophie multi  
systématisée à syndrome cérébelleux (AMS-C), la démence frontotemporale  
avec syndrome parkinsonien, la paralysie supranucléaire progressive, la  
dégénérescence corticobasale, le nystagmus cérébelleux à battement  
descendant, la démence à corps de Lewy, et l'ataxie télangiectasie (syndrome  
20 de Louis Barr), et dans laquelle l'acétyl-leucine, ou un sel  
pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, est administrée au moins deux  
fois par jour pour atteindre une dose journalière totale allant d'environ 0,5 g à  
environ 15 g.
- 25 2. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à  
une utilisation selon la revendication 1, dans laquelle le sujet est  
asymptomatique.
3. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à  
30 une utilisation selon la revendication 2, dans laquelle il a été trouvé que le  
sujet possède un marqueur génétique et/ou biochimique de la maladie  
neurodégénérative.
4. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à  
35 une utilisation selon la revendication 1 pour retarder l'apparition d'une

maladie neurodégénérative ou d'un ou de plusieurs symptômes d'une maladie neurodégénérative dont la manifestation serait par ailleurs attendue selon l'évolution caractéristique de la maladie.

- 5 5. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine au sujet qui en a besoin pendant une durée choisie d'au moins environ 3 mois, d'au moins environ 6 mois, d'au moins environ 1 an, d'au moins
- 10 environ 2 ans, et d'au moins environ 5 ans.
6. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour retarder l'évolution d'une maladie neurodégénérative ou d'un ou de plusieurs symptômes associés à une
- 15 maladie neurodégénérative dans la durée, par comparaison avec l'évolution caractéristique de la maladie, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine au sujet qui en a besoin pendant une durée choisie d'au moins environ 3 mois, d'au moins environ 6 mois, d'au moins environ 1 an, d'au moins
- 20 environ 2 ans, et d'au moins environ 5 ans.
7. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour inverser l'évolution d'une
- 25 maladie neurodégénérative ou d'un ou de plusieurs symptômes associés à une maladie neurodégénérative dans la durée, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine au sujet qui en a besoin pendant une durée choisie d'au moins environ 3 mois, d'au moins environ 6 mois, d'au moins environ 1 an, d'au moins
- 30 environ 2 ans, et d'au moins environ 5 ans.

8. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour améliorer chez un sujet qui en a besoin un marqueur biochimique d'une maladie neurodégénérative dans la durée, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine au sujet qui en a besoin pendant une durée choisie d'au moins environ 3 mois, d'au moins environ 6 mois, d'au moins environ 1 an, d'au moins environ 2 ans, et d'au moins environ 5 ans.
9. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 8, dans laquelle le marqueur biochimique est le volume lysosomal augmenté.
10. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 9, dans laquelle l'utilisation comprend le commencement de l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine au sujet qui en a besoin lorsque le sujet est asymptomatique.
11. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 10, dans laquelle le commencement de l'administration intervient après qu'il ait été trouvé que le sujet possédait un marqueur génétique et/ou biochimique de la maladie neurodégénérative.
12. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 4, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine au sujet qui en a besoin pendant une durée choisie d'au moins environ 3 mois, d'au moins environ 6 mois, d'au moins environ 1 an, d'au moins environ 2 ans, et d'au moins environ 5 ans.

13. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 12, dans laquelle l'acétyl-leucine est de l'acétyl-DL-leucine.
- 5
14. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 12, dans laquelle l'acétyl-leucine a un excès énantiomérique en énantiomère L ou en énantiomère D.
- 10
15. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 4, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration de l'acétyl-leucine au sujet qui en a besoin à une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'au moins environ 0,5 g à environ 15 g par jour, d'au moins environ 1 g à environ 10 g par jour, d'au moins environ 1,5 g à environ 7 g par jour, d'au moins environ 4 g à environ 6 g par jour, ou d'au moins environ 4 g à environ 5 g par jour.
- 15
16. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 5 à 12, dans laquelle la quantité efficace sur le plan thérapeutique de l'acétyl-leucine est d'au moins environ 0,5 g à environ 15 g par jour, d'au moins environ 1 g à environ 10 g par jour, d'au moins environ 1,5 g à environ 7 g par jour, d'au moins environ 4 g à environ 6 g par jour, ou d'au moins environ 4 g à environ 5 g par jour.
- 20
- 25
17. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour diminuer la gravité d'une maladie neurodégénérative ou pour diminuer la gravité ou pour éliminer un ou plusieurs symptômes existants associés à une maladie neurodégénérative
- 30

chez un sujet qui en a besoin.

18. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour apporter une neuroprotection à un sujet qui est atteint, que l'on soupçonne d'être atteint, ou qui présente un risque d'être atteint d'une maladie neurodégénérative, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine au sujet pendant une durée choisie d'au moins environ 3 mois, d'au moins environ 6 mois, d'au moins environ 1 an, d'au moins environ 2 ans, et d'au moins environ 5 ans.