

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 43876 B1** (51) Cl. internationale : **A61P 25/00; A61K 31/13**

(43) Date de publication :
30.04.2019

(21) N° Dépôt :
43876

(22) Date de Dépôt :
11.08.2017

(30) Données de Priorité :
11.08.2016 GB 201613828

(86) Données relatives à la demande internationale selon le PCT:
PCT/IB2017/054928 11.08.2017

(86) N° de dépôt auprès de l'organisme de validation:17767933.9

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

(72) Inventeur(s) :
STRUPP, Michael

(74) Mandataire :
SABA & CO

(54) Titre : **COMPOSITIONS PHARMACEUTIQUES ET LEUR UTILISATIONS CONTRE LES MALADIES DE SURCHARGE LYSOSOMALE**

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

EP 17 767 933.9
Intrabio Limited
I09255WOEP

Revendications

1. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation dans le traitement des troubles du stockage lysosomal (LSD) ou d'un ou de plusieurs symptômes associés à un LSD chez un sujet nécessitant un tel traitement, dans laquelle le LSD n'est pas une maladie de Niemann-Pick de type C.
2. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1, dans laquelle le LSD est choisi à partir de la maladie de stockage du glycogène, glycogénose, des mucopolysaccharidoses, des mucopolipidoses, des oligosaccharidoses, des lipidoses, des sphingolipidoses, et des maladies du transfert lysosomal.
3. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1, dans laquelle le LSD est choisi à partir d'un défaut d'une des principales hydrolases lysosomales, d'un défaut de traitement de la post-traduction des enzymes lysosomales, d'un défaut de trafic pour les enzymes lysosomales, d'un défaut dans la protection de l'enzyme lysosomale, d'un défaut dans les protéines lysosomales non enzymatiques solubles, d'un défaut de la protéine transmembranaire (non enzymatique), et d'un défaut non classé.
4. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1, dans laquelle le LSD est choisi à partir de la maladie de Tay-Sachs, de la variante AB de la maladie de Tay-Sachs, de la maladie de Sandhoff, de la maladie de Niemann-Pick de type A, de la maladie de Niemann-Pick de type B, de la maladie de Fabry, des céroïdes

lipofuscinoses neuronales, de la maladie de Krabbe, de la maladie de Farber, de la maladie de Gaucher, de la leucodystrophie métachromatique, du déficit multiple en sulfatases, de la mucopolidose de type 2, de la mucopolidose de type 3, de la MPS III, de la MPS VII, de la gangliosidose à GM1, et de l'aspartylglucosaminurie.

5. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour retarder l'apparition d'un LSD ou d'un ou de plusieurs symptômes d'un LSD dont on attendrait, sans cela, la manifestation au fur et à mesure de la progression habituelle de la maladie.
6. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour enrayer au cours du temps la progression d'un LSD ou d'un ou de plusieurs symptômes associés à un LSD, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine chez le sujet nécessitant un tel traitement pendant une période choisie à partir d'environ 3 mois au moins, d'environ 6 mois au moins, d'environ 1 an au moins, d'environ 2 ans au moins, et d'environ 5 ans au moins.
7. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour améliorer chez un sujet nécessitant un tel traitement un marqueur biochimique d'un LSD au cours du temps, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine chez le sujet nécessitant un tel traitement pendant une période choisie à partir d'environ 3 mois au moins, d'environ 6 mois au moins, d'environ 1 an au moins, d'environ 2 ans au moins, et d'environ 5 ans au moins.

8. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 7, dans laquelle le marqueur biochimique est l'augmentation du volume lysosomal.
9. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 8, dans laquelle l'utilisation comprend le commencement de l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine chez le sujet nécessitant un tel traitement lorsque le sujet est asymptomatique.
10. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation dans un processus selon la revendication 9, dans laquelle le commencement de l'administration intervient après qu'il a été trouvé que le sujet possède un marqueur génétique et/ou biochimique de LSD.
11. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 5, dans laquelle le processus comprend l'administration d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique d'acétyl-leucine chez le sujet nécessitant un tel traitement pendant une période choisie à partir d'environ 3 mois au moins, d'environ 6 mois au moins, d'environ 1 an au moins, d'environ 2 ans au moins, et d'environ 5 ans au moins.
12. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 11, dans laquelle l'acétyl-leucine est de l'acétyl-DL-leucine.
13. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 11, dans laquelle l'acétyl-leucine a un excès énantiomorphe en énantiomère L ou en énantiomère D.

14. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 11, dans laquelle l'acétyl-leucine est sous forme énantiomorphe simple, soit d'énantiomère L, soit d'énantiomère D.
15. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 11, dans laquelle le processus comprend l'administration d'acétyl-leucine, chez le sujet nécessitant un tel traitement, d'une quantité efficace sur le plan thérapeutique allant d'environ 1 g à environ 15 g par jour, allant d'environ 1 g à environ 10 g par jour, allant d'environ 1,5 g à environ 7 g par jour, allant d'environ 4 g à environ 6 g par jour, ou allant d'environ 4 g à environ 5 g par jour.
16. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 1 pour diminuer la gravité d'un LSD ou pour diminuer la gravité ou pour éliminer un ou plusieurs symptômes existants associés à un LSD chez un sujet nécessitant un tel traitement.