

## (12) BREVET D'INVENTION

(11) N° de publication : **MA 45615 B1** (51) Cl. internationale : **A61P 25/00; A61K 31/13**

(43) Date de publication :  
**31.03.2021**

---

(21) N° Dépôt :  
**45615**

(22) Date de Dépôt :  
**11.08.2017**

(30) Données de Priorité :  
**11.08.2016 GB 201613828**

(71) Demandeur(s) :  
**IntraBio Ltd, Summit House 170 Finchley Road London NW3 6BP (GB)**

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

(74) Mandataire :  
**SABA & CO.,TMP**

**(86) N° de dépôt auprès de l'organisme de validation: EP18210763.1**

---

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

(57) Abrégé : La présente invention concerne le traitement des troubles du stockage lysosomal (LSD) comprenant l'administration d'acétyl-leucine ou d'un sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci.

EP 18 210 763.1  
Intrabio Limited  
I09255WOEPD1

29 Août 2019

### Revendications

1. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à  
5 une utilisation dans le traitement d'une maladie de Niemann-Pick de type C ou d'un  
ou de plusieurs symptômes associé à la maladie de Niemann-Pick de type C chez un  
sujet nécessitant un tel traitement, où l'utilisation comprend l'administration d'une  
quantité efficace thérapeutiquement d'acétyl-leucine au sujet nécessitant un tel  
traitement pour une durée choisie à partir d'au moins environ 6 mois, au moins  
10 environ 1 an, au moins environ 2 ans, et au moins environ 5 ans.
2. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci destinée à  
une utilisation selon la revendication 1 pour différer une progression d'une maladie  
de Niemann-Pick de type C ou d'un ou de plusieurs symptômes associé à la maladie  
de Niemann-Pick de type C dans le temps comparativement à une progression de la  
15 maladie typique, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une  
quantité efficace thérapeutiquement d'acétyl-leucine au sujet nécessitant un tel  
traitement pour une durée choisie à partir d'au moins environ 6 mois, au moins  
environ 1 an, au moins environ 2 ans, et au moins environ 5 ans.
3. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à  
20 une utilisation selon la revendication 1, pour inverser la progression d'une maladie  
de Niemann-Pick de type C ou d'un ou de plusieurs symptômes associé à la maladie  
de Niemann-Pick de type C dans le temps, dans laquelle l'utilisation comprend  
l'administration d'une quantité efficace thérapeutiquement d'acétyl-leucine au sujet  
nécessitant un tel traitement pour une durée choisie à partir d'au moins environ 6  
25 mois, au moins environ 1 an, au moins environ 2 ans, et au moins environ 5 ans.
4. 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 de la maladie de Niemann-Pic de type C  
dans le temps, dans laquelle l'utilisation comprend l'administration d'une quantité  
30 efficace thérapeutiquement d'acétyl-leucine au sujet nécessitant un tel traitement  
pour une durée choisie à partir d'au moins environ 6 mois, au moins environ 1 an, au  
moins environ 2 ans, et au moins environ 5 ans.

5. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci destinée à une utilisation selon la revendication 4, dans laquelle le marqueur biochimique augmente le volume lysosomal.
- 5 6. 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 procédé comprend une initiation d'une administration d'une quantité efficace thérapeutiquement d'acétyl-leucine au sujet nécessitant un tel traitement lorsque le sujet est asymptomatique.
- 10 7. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 6, dans laquelle l'administration initiale a lieu après que l'on ait trouvé chez le sujet qu'il avait un marqueur génétique et/ou biochimique de la maladie de Niemann-Pick de type C.
- 15 8. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 7, laquelle acétyl-leucine étant l'acétyl-DL-leucine.
9. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 7, laquelle acétyl-leucine ayant un excès énantiomérique d'énantiomère L ou d'énantiomère D.
- 20 10. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 7, laquelle acétyl-leucine étant dans une seule forme énantiomérique de soit l'énantiomère L, soit l'énantiomère D.
- 25 11. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon la revendication 10, dans laquelle la seule forme énantiomérique est l'énantiomère L.
- 30 12. Acétyl-leucine, ou sel pharmaceutiquement acceptable de celle-ci, destinée à une utilisation selon l'une quelconque des revendications 1 à 7, dans laquelle l'administration de la quantité thérapeutiquement efficace d'acétyl-leucine va d'environ 1 g à environ 15 g par jour, va d'environ 1 g à environ 10 g par jour, va d'environ 1,5 g à environ 7 g par jour, va d'environ 4 g à environ 6 g par jour, ou va d'environ 4 g à environ 5 g par jour.