

(12) BREVET D'INVENTION

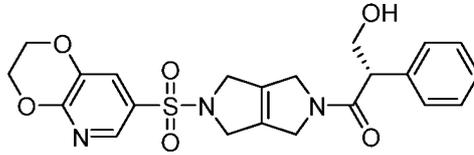
- (11) N° de publication : **MA 53668 B1** (51) Cl. internationale : **A61K 31/436; A61P 7/06; A61K 9/20**
- (43) Date de publication : **28.06.2024**

-
- (21) N° Dépôt : **53668**
- (22) Date de Dépôt : **19.09.2019**
- (30) Données de Priorité : **19.09.2018 US 201862733558 P**
- (86) Données relatives à la demande internationale selon le PCT: **PCT/US2019/052024 19.09.2019**
- (71) Demandeur(s) : **Novo Nordisk Health Care AG The Circle 32/38 8058 Zürich, (CH)**
- (72) Inventeur(s) : **ERICSSON, Anna ; GUSTAFSON, Gary ; WANG, Zhongguo ; LANCIA, David R., Jr. ; GREEN, Neal ; MITCHELL, Lorna ; RICHARD, David ; MARSHALL, Gary ; FORSYTH, Sanjeev ; KELLY, Patrick, F. ; MONDAL, Madhu ; RIBADENEIRA, Maria ; SCHROEDER, Patricia**
- (74) Mandataire : **SABA & CO., TMP**
- (86) N° de dépôt auprès de l'organisme de validation :19863246.5

-
- (54) Titre : **TRAITEMENT DE LA DRÉPANOCYTOSE AVEC UN COMPOSÉ ACTIVANT LA PYRUVATE KINASE R**
- (57) Abrégé : Selon l'invention, des composés qui activent la pyruvate kinase R peuvent être utilisés pour le traitement de la drépanocytose (SCD). L'invention concerne également des méthodes et des compositions pour le traitement de la SCD, faisant intervenir un composé thérapeutique désigné composé 1.

REVENDICATIONS

1. Composition pharmaceutique comprenant un Composé 1 ou un sel pharmaceutiquement acceptable de celui-ci, et un vecteur pharmaceutiquement acceptable :

**1**

à utiliser dans un procédé de traitement d'un patient auquel on a diagnostiqué une drépanocytose, ledit procédé comprenant l'administration au patient qui en a besoin d'un total de 25 mg à 1 500 mg de Composé 1 chaque jour.

2. Composition à utiliser selon la revendication 1, dans laquelle ledit procédé comprend l'administration du Composé 1 ou d'un sel pharmaceutiquement acceptable de celui-ci en une seule dose chaque jour.

15

3. Composition à utiliser selon la revendication 1, dans laquelle ledit procédé comprend l'administration du Composé 1 ou d'un sel pharmaceutiquement acceptable de celui-ci en doses divisées chaque jour.

20

4. Composition à utiliser selon l'une quelconque des revendications 1 à 3, dans laquelle la composition est administrée par voie orale au patient.

5. Composition à utiliser selon l'une quelconque des revendications 1 à 4, dans laquelle la composition est formulée sous une forme posologique unitaire orale.

25

6. Composition à utiliser selon l'une quelconque des revendications 1 à 5, dans laquelle ledit procédé comprend l'administration du Composé 1 en une dose journalière totale de 200 mg.

30

7. Composition à utiliser selon l'une quelconque des revendications 1 à 5, dans laquelle ledit procédé comprend l'administration du Composé 1 en une dose journalière totale de 300 mg.

35

8. Composition à utiliser selon l'une quelconque des revendications 1 à 5, dans laquelle ledit procédé comprend l'administration du Composé 1 en une dose journalière totale de 400 mg.

9. Composition à utiliser selon l'une quelconque des revendications 1 à 5, dans laquelle ledit procédé comprend l'administration du Composé 1 en une dose journalière totale de 500 mg.

- 5 10. Composition à utiliser selon l'une quelconque des revendications 1 à 5, dans laquelle ledit procédé comprend l'administration du Composé 1 en une dose journalière totale de 600 mg.