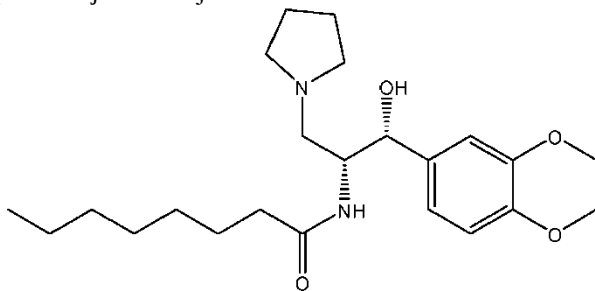


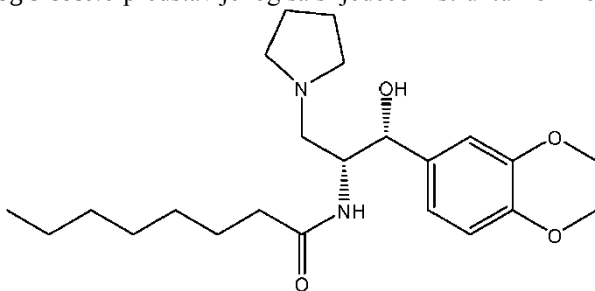
PATENTNI ZAHTEJEVI

1. Prvo terapijsko sredstvo predstavljeno sa slijedećom strukturnom formulom:



ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, **naznačeno time** da je za upotrebu za liječenje Gaucherove bolesti, pri čemu navedeno liječenje obuhvaća davanje učinkovite količine prvog terapijskog sredstva u kombinaciji s učinkovitom količinom drugog terapijskog sredstva koje je korisno za liječenje Gaucherove bolesti.

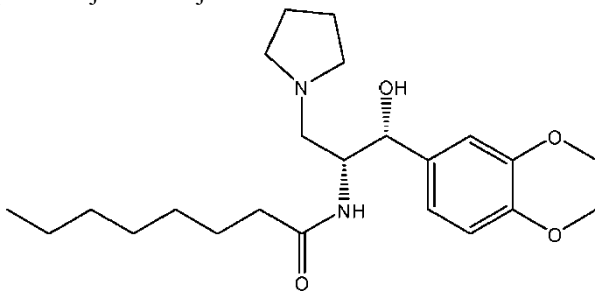
2. Upotreba prvog terapijskog sredstva predstavljenog sa slijedećom strukturnom formulom:



ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, za proizvodnju lijeka **naznačeno time** da je za upotrebu za liječenje Gaucherove bolesti, pri čemu navedeno liječenje obuhvaća davanje učinkovite količine prvog terapijskog sredstva u kombinaciji s učinkovitom količinom drugog terapijskog sredstva koje je korisno za liječenje Gaucherove bolesti.

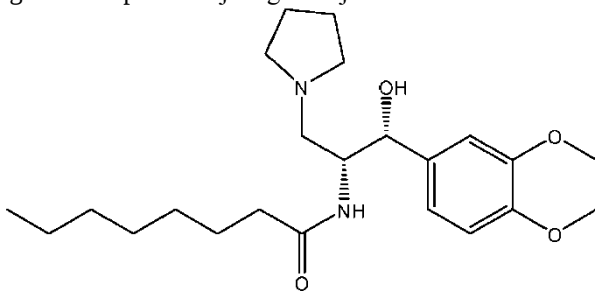
3. Spoj za upotrebu prema zahtjevu 1 ili upotrebu prema zahtjevu 2, **naznačen time** da je drugo terapijsko sredstvo odabrano od glukocerebrosidaze, analoga glukocerebrosidaze, inhibitora glukozilceramid sintaze, te molekularnih šaperona koji se vežu na glukocerebrosidazu i obnavljaju njezinu ispravnu konformaciju.
4. Spoj za upotrebu prema zahtjevu 1 ili upotrebu prema zahtjevu 2, **naznačen time** da je drugo terapijsko sredstvo imigluceraza, izofagomin, miglustat, taligluceraza alfa ili velagluceraza alfa.

5. Prvo terapijsko sredstvo predstavljeno sa slijedećom strukturnom formulom:



ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, **naznačeno time** da je za upotrebu za liječenje Fabrijeve bolesti, pri čemu navedeno liječenje obuhvaća davanje učinkovite količine prvog terapijskog sredstva u kombinaciji s učinkovitom količinom drugog terapijskog sredstva koje je korisno za liječenje Fabrijeve bolesti.

6. Upotreba prvog terapijskog sredstva predstavljenog sa slijedećom strukturnom formulom:



ili njegova farmaceutske prihvatljiva sol, za proizvodnju lijeka **naznačeno time** da je za upotrebu za liječenje Fabrijeve bolesti,

pri čemu navedeno liječenje obuhvaća davanje učinkovite količine prvog terapijskog sredstva u kombinaciji s učinkovitom količinom drugog terapijskog sredstva koje je korisno za liječenje Fabrijeve bolesti.

7. Spoj za upotrebu prema zahtjevu 5 ili upotrebu prema zahtjevu 6, **naznačen time** da je drugo terapijsko sredstvo odabrano od α galaktozidaze A, analoga α galaktozidaze A, i molekularnih šaperona koji se vežu na α galaktozidazu A i obnavljaju njezinu ispravnu konformaciju.
8. Spoj za upotrebu prema zahtjevu 5 ili upotrebu prema zahtjevu 6, **naznačen time** da drugo terapijsko sredstvo je migalastat, agalزيدaza beta, ili agalزيدaza alfa.
9. Spoj za upotrebu ili upotreba prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 8, **naznačen time** da se prvo terapijsko sredstvo primjenjuje kao hemitartratna sol.
10. Spoj za upotrebu ili upotreba prema zahtjevu 9, **naznačen time** da navedena sol je amorfnu ili najmanje 70% težinski navedene soli je kristalno.
11. Spoj za upotrebu ili upotreba prema zahtjevu 9, **naznačen time** da je najmanje 70% težinski navedene soli u obliku monokristala.
12. Spoj za upotrebu ili upotreba prema zahtjevu 11, pri čemu je oblik monokristala **naznačen time** da ima jedan, dva, tri, četiri ili pet glavnih vrhova difrakcije X-zraka na prahu kod 2θ kutova od 5.1° , 6.6° , 10.7° , 11.0° , 15.9° i 21.7° .
13. Spoj za upotrebu ili upotreba prema zahtjevu 11, pri čemu je oblik monokristala **naznačen time** da ima vrhove difrakcije X-zraka na prahu kod 2θ kutova od 5.1° , 6.6° , 10.7° , 11.0° , 13.3° , 15.1° , 15.9° , 16.5° , 17.6° , 18.6° , 18.7° , 19.0° , 20.2° , 21.7° i 23.5° .
14. Spoj za upotrebu ili upotreba prema zahtjevu 11, pri čemu je oblik monokristala **naznačen time** da ima uzorak difrakcije X-zraka na prahu prema slici 1.
15. Spoj za upotrebu ili upotreba prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 14, **naznačen time** da je liječenje s prvim terapijskim sredstvom započeto nakon liječenja tijekom perioda od najmanje deset tjedana s drugim terapijskim sredstvom.
16. Spoj za upotrebu ili upotreba prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 14, **naznačen time** da je liječenje s prvim terapijskim sredstvom započeto nakon liječenja s drugim terapijskim sredstvom i pri čemu se liječenje s prvim terapijskim sredstvom pokreće nakon što je broj trombocita kod subjekta jednak ili veći od $100,000 \text{ mm}^3$; koncentracija hemoglobina je jednaka ili veća od 11 g/dl (žene) ili 12 g/dl (muškarci); i/ili volumen slezene kod subjekta je manji ili jednak 10 puta od normalnog i volumeni jetre su manji od ili jednaki 1.5 puta od normalnog.
17. Spoj za upotrebu ili upotreba prema zahtjevu 15 ili 16, **naznačen time** da liječenje s drugim terapijskim sredstvom prestaje nakon početka liječenja s prvim terapijskim sredstvom.
18. Spoj za upotrebu ili upotreba prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 17, **naznačen time** da navedeno liječenje obuhvaća primjenu prvog terapijskog sredstva u dvije dnevne doze od 25 miligrama do 200 miligrama.
19. Spoj za upotrebu ili upotreba prema bilo kojem od zahtjeva 1 do 18, **naznačen time** da navedeno liječenje obuhvaća primjenu prvog terapijskog sredstva u dvije dnevne doze od 50 miligrama.