

REIVINDICACIONES:

Habiéndose descrito la invención como antecede, se reclama como propiedad lo contenido en las siguientes reivindicaciones:

- 5 1. Un método para reducir el índice de masa ventricular izquierda (LVMI) en un paciente tratado previamente con una terapia de reemplazo enzimático (ERT) que sufre de la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una
10 cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg de equivalente de base libre (FBE).
2. El método de la reivindicación 1, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de
15 iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.
3. El método de la reivindicación 1 ó 2, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.
4. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, en
20 donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.
5. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.
- 25 6. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-5, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.
7. El método de la reivindicación 6, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una
30 solución.

8. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-7, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

9. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-8, en
5 donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

10. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-9, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de
10 pacientes tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 18 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

11. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-10, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
15 provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente 6.6 g/m² después de 18 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

12. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-11,
20 en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 2 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

13. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-12, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de
25 pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente 3,8 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat
30 o una sal del mismo.

14. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-13, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de por lo
5 menos aproximadamente 5 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

15. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-14, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de
10 pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de aproximadamente 9 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

16. Un método para reducir el índice de masa ventricular izquierda (LVMi) en un paciente no tratado previamente con
15 una terapia de reemplazo enzimático (ERT) que sufre de la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123
20 mg del equivalente de base libre (FBE).

17. El método de la reivindicación 16, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

18. El método de la reivindicación 16 ó 17, en donde el
25 migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

19. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-18, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

20. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-18, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

21. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-20,
5 en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

22. El método de la reivindicación 21, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

10 23. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-22, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

24. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-23, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra
15 durante por lo menos 30 meses.

25. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-24, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos
20 aproximadamente 5 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

26. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-25, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de
25 pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 7.7 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

27. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-26, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
30 provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos

aproximadamente 10 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

28. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-27, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
5 provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 17 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

29. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-28,
10 en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de por lo menos aproximadamente 15 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

15 30. El método de cualquiera de las reivindicaciones 16-29, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de aproximadamente 20.8 g/m² después de 30 a 36 meses de
20 administración de migalastat o una sal del mismo.

31. Un método para normalizar el índice de masa ventricular izquierda (LVMI) en un paciente que sufre de la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de
25 migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE).

32. El método de la reivindicación 31, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de
30 iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

33. El método de la reivindicación 31 o 32, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

34. El método de cualquiera de las reivindicaciones 31-33,
5 en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

35. El método de cualquiera de las reivindicaciones 31-33, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

10 36. El método de cualquiera de las reivindicaciones 31-35, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

37. El método de la reivindicación 36, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una
15 solución.

38. El método de cualquiera de las reivindicaciones 31-37, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

39. El método de cualquiera de las reivindicaciones 31-38,
20 en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

40. Un método para normalizar el índice de masa ventricular izquierda (LVMI) en un paciente tratado previamente con una terapia de reemplazo enzimático (ERT) que sufre de la
25 enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE).

41. El método de la reivindicación 40, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

42. El método de la reivindicación 40 o 41, en donde el
5 migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

43. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-42, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

10 44. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-42, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

45. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-44, en donde la formulación comprende una forma de dosificación
15 oral.

46. El método de la reivindicación 45, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

47. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-46,
20 en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

48. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-47, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

25 49. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-48, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 18 meses de administración
30 de migalastat o una sal del mismo.

50. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-49, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente
5 6.6 g/m² después de 18 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

51. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-50, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de
10 pacientes tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 2 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

52. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-51, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
15 provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente 3,8 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

53. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-52, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
20 provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

25 54. El método de cualquiera de las reivindicaciones 40-53, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de aproximadamente 9 g/m² después de 30 meses de administración
30 de migalastat o una sal del mismo.

55. Un método para normalizar el índice de masa ventricular izquierda (LVMI) en un paciente no tratado previamente con una terapia de reemplazo enzimático (ERT) que sufre de la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar
5 al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE).

56. El método de la reivindicación 55, en donde el paciente
10 tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

57. El método de la reivindicación 55 o 56, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

15 58. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-57, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

59. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-57, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150
20 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

60. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-59, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

61. El método de la reivindicación 60, en donde la forma de
25 dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

62. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-61, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

63. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-62, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

64. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-63,
5 en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

10 65. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-64, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 7.7 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de
15 migalastat o una sal del mismo.

66. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-65, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos
20 aproximadamente 10 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

67. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-66, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de
25 pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 17 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

68. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-67, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
30 provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de por

lo menos aproximadamente 15 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

69. El método de cualquiera de las reivindicaciones 55-68, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
5 provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de aproximadamente 20.8 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

70. Un método para reducir la globotriaosilceramida (GL-3)
10 en podocitos en un paciente que sufre de la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente
15 de base libre (FBE).

71. El método de la reivindicación 70, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

72. El método de la reivindicación 70 ó 71, en donde al
20 paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

73. El método de la reivindicación 70 ó 71, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

25 74. El método de cualquiera de las reivindicaciones 70-73, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

75. El método de la reivindicación 74, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una
30 solución.

76. El método de cualquiera de las reivindicaciones 70-75, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 6 meses.

77. El método de cualquiera de las reivindicaciones 70-76,
5 en donde el paciente es un paciente no tratado previamente con ERT.

78. El método de cualquiera de las reivindicaciones 70-76, en donde el paciente es un paciente tratado previamente con ERT.

10 79. Un método para reducir el volumen de los podocitos en un paciente que sufre de la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de
15 aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE).

80. El método de la reivindicación 79, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

81. El método de la reivindicación 79 u 80, en donde al
20 paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

82. El método de la reivindicación 79 u 80, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

25 83. El método de cualquiera de las reivindicaciones 79-82, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

84. El método de la reivindicación 83, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una
30 solución.

85. El método de cualquiera de las reivindicaciones 79-84, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 6 meses.

86. El método de cualquiera de las reivindicaciones 79-85,
5 en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una reducción promedio del volumen de los podocitos en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 30% después de 6 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

10 87. El método de cualquiera de las reivindicaciones 79-86, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una reducción promedio del volumen de los podocitos en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 47% después de 6 meses de administración de
15 migalastat o una sal del mismo.

88. El método de cualquiera de las reivindicaciones 79-87, en donde el paciente es un paciente no tratado previamente con ERT.

89. El método de cualquiera de las reivindicaciones 79-87,
20 en donde el paciente es un paciente tratado previamente con ERT.

90. Un método para reducir el volumen de inclusiones de globotriaosilceramida (GL-3) por podocito en un paciente que sufre de la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende
25 administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE).

91. El método de la reivindicación 90, en donde el
30 migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

92. El método de la reivindicación 90 ó 91, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

93. El método de la reivindicación 90 ó 91, en donde al
5 paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

94. El método de cualquiera de las reivindicaciones 90-92, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

10 95. El método de la reivindicación 94, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

96. El método de cualquiera de las reivindicaciones 90-95, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra
15 durante por lo menos 6 meses.

97. El método de cualquiera de las reivindicaciones 90-96, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una reducción promedio del volumen de inclusiones de GL-3 por podocito en un grupo de pacientes no tratados
20 previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 30% después de 6 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

98. El método de cualquiera de las reivindicaciones 90-97, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo
25 provee una reducción promedio del volumen de inclusiones de GL-3 por podocito en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 50% después de 6 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

99. El método de cualquiera de las reivindicaciones 90-98,
30 en donde el paciente es un paciente no tratado previamente con ERT.

100. El método de cualquiera de las reivindicaciones 90-98, en donde el paciente es un paciente tratado previamente con ERT.

101. Un método para tratar la enfermedad de Fabry en un
5 paciente tratado previamente con una terapia de reemplazo enzimático (ERT), donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente
10 de base libre (FBE) y en donde la administración de la formulación reduce la masa ventricular izquierda (LVM) del paciente.

102. El método de la reivindicación 101, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de
15 iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

103. El método de la reivindicación 101 o 102, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

104. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-
20 103, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

105. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-103, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

25 106. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-105, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

107. El método de la reivindicación 106, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o
30 una solución.

108. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-107, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

109. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-5 108, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

110. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-109, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del índice de masa ventricular izquierda (LVMi) en un grupo de pacientes 10 tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 18 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

111. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-15 110, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente 6.6 g/m² después de 18 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

112. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-20 111, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 2 g/m² después de 30 meses de administración 25 de migalastat o una sal del mismo.

113. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-112, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente 30 3.8 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

114. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-113, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

115. El método de cualquiera de las reivindicaciones 101-114, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de aproximadamente 9 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

116. Un método para tratar la enfermedad de Fabry en un paciente no tratado previamente con una terapia de reemplazo enzimático (ERT), donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE) y en donde la administración de la formulación reduce la masa ventricular izquierda (LVM) del paciente.

117. El método de la reivindicación 116, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

118. El método de la reivindicación 116 o 117, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

119. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-118, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

120. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-118, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

121. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-
5 120, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

122. El método de la reivindicación 121, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

10 123. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-122, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

124. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-123, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra
15 durante por lo menos 30 meses.

125. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-124, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del índice de masa ventricular izquierda (LVMI) en un grupo de pacientes no
20 tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

126. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-125, en donde la administración de migalastat o una sal del
25 mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 7.7 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

127. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-
30 126, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo

de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 10 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

128. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-
5 127, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 17 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

10 129. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-128, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de por lo menos aproximadamente 15 g/m² después de 30 a 36 meses
15 de administración de migalastat o una sal del mismo.

130. El método de cualquiera de las reivindicaciones 116-129, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de
20 aproximadamente 20.8 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

131. Un método para tratar la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar a un paciente que lo necesita una formulación que comprende una cantidad eficaz
25 de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE) y en donde la administración de la formulación normaliza el índice de masa ventricular izquierda (LVM) del paciente.

132. El método de la reivindicación 131, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

133. El método de la reivindicación 131 o 132, en donde el
5 migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

134. El método de cualquiera de las reivindicaciones 131-133, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

10 135. El método de cualquiera de las reivindicaciones 131-133, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

136. El método de cualquiera de las reivindicaciones 131-135, en donde la formulación comprende una forma de
15 dosificación oral.

137. El método de la reivindicación 136, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

138. El método de cualquiera de las reivindicaciones 131-
20 137, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

139. El método de cualquiera de las reivindicaciones 131-138, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

25 140. Un método para tratar la enfermedad de Fabry en un paciente tratado previamente con una terapia de reemplazo enzimático (ERT), donde dicho método comprende administrar al paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la
30 cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE) y en donde la administración de la

formulación normaliza el índice de masa ventricular izquierda (LVMI) del paciente.

141. El método de la reivindicación 140, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de
5 iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

142. El método de la reivindicación 140 o 141, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

143. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-
10 142, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

144. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-142, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

15 145. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-144, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

146. El método de la reivindicación 145, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o
20 una solución.

147. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-146, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

148. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-
25 147, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

149. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-148, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMI en un grupo
30 de pacientes tratados previamente con ERT de por lo menos

aproximadamente 5 g/m² después de 18 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

150. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-149, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente 6.6 g/m² después de 18 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

151. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-150, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 2 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

152. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-151, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT de aproximadamente 3,8 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

153. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-152, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de por lo menos aproximadamente 5 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

154. El método de cualquiera de las reivindicaciones 140-153, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes tratados previamente con ERT con una LVH de

aproximadamente 9 g/m² después de 30 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

155. Un método para tratar la enfermedad de Fabry en un paciente no tratado previamente con una terapia de reemplazo enzimático (ERT), donde dicho método comprende administrar al
5 paciente una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE) y en donde la administración de la
10 formulación normaliza el índice de masa ventricular izquierda (LVMI) del paciente.

156. El método de la reivindicación 155, en donde el paciente tiene hipertrofia ventricular izquierda (LVH) antes de iniciar la administración del migalastat o una sal del mismo.

157. El método de la reivindicación 155 o 156, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

158. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-157, en donde al paciente se le administran aproximadamente
20 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

159. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-157, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

160. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-159, en donde la formulación comprende una forma de
25 dosificación oral.

161. El método de la reivindicación 160, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

162. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-161, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 18 meses.

163. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-5 162, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 30 meses.

164. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-163, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos 10 aproximadamente 5 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

165. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-164, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de 15 pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 7.7 g/m² después de 18 a 24 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

166. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-20 165, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 10 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

25 167. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-166, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 17 g/m² después de 30 a 36 meses de 30 administración de migalastat o una sal del mismo.

168. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-167, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de
5 por lo menos aproximadamente 15 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

169. El método de cualquiera de las reivindicaciones 155-168, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una disminución promedio del LVMi en un grupo
10 de pacientes no tratados previamente con ERT con una LVH de aproximadamente 20.8 g/m² después de 30 a 36 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

170. Un método para tratar la enfermedad de Fabry, donde dicho método comprende administrar a un paciente que lo
15 necesita una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE) y en donde la administración de la formulación reduce la globotriaosilceramida (GL-3) en
20 podocitos en el paciente.

171. El método de la reivindicación 170, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

172. El método de la reivindicación 170 ó 171, en donde
25 al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

173. El método de la reivindicación 170 ó 171, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

30 174. El método de cualquiera de las reivindicaciones 170-173, en donde la formulación comprende una forma de

dosificación oral.

175. El método de la reivindicación 174, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

5 176. El método de cualquiera de las reivindicaciones 170-175, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 6 meses.

177. El método de cualquiera de las reivindicaciones 170-176, en donde el paciente es un paciente no tratado
10 previamente con ERT.

178. El método de cualquiera de las reivindicaciones 170-176, en donde el paciente es un paciente tratado previamente con ERT.

179. Un método para tratar la enfermedad de Fabry, en
15 donde dicho método comprende administrar a un paciente que lo necesita una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE) y en donde la administración de la
20 formulación reduce el volumen de podocitos en el paciente.

180. El método de la reivindicación 179, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

181. El método de la reivindicación 179 ó 180, en donde
25 al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

182. El método de la reivindicación 179 ó 180, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

30 183. El método de cualquiera de las reivindicaciones 179-182, en donde la formulación comprende una forma de

dosificación oral.

184. El método de la reivindicación 183, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

5 185. El método de cualquiera de las reivindicaciones 179-184, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 6 meses.

186. El método de cualquiera de las reivindicaciones 179-185, en donde la administración de migalastat o una sal
10 del mismo provee una reducción promedio del volumen de los podocitos en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 30% después de 6 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

187. El método de cualquiera de las reivindicaciones
15 179-186, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una reducción promedio del volumen de los podocitos en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de aproximadamente 47% después de 6 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

20 188. El método de cualquiera de las reivindicaciones 179-187, en donde el paciente es un paciente no tratado previamente con ERT.

189. El método de cualquiera de las reivindicaciones 179-187, en donde el paciente es un paciente tratado
25 previamente con ERT.

190. Un método para tratar la enfermedad de Fabry, en donde dicho método comprende administrar a un paciente que lo necesita una formulación que comprende una cantidad eficaz de migalastat o una sal del mismo cada dos días, en donde la
30 cantidad eficaz es de aproximadamente 123 mg del equivalente de base libre (FBE) y en donde la administración de la

formulación reduce el volumen de inclusiones de globotriaosilceramida (GL-3) por podocitos en el paciente.

191. El método de la reivindicación 190, en donde el migalastat o una sal del mismo mejora la actividad de la α -galactosidasa A.

192. El método de la reivindicación 190 ó 191, en donde al paciente se le administran aproximadamente 123 mg de la base libre de migalastat cada dos días.

193. El método de la reivindicación 190 ó 191, en donde al paciente se le administran aproximadamente 150 mg de clorhidrato de migalastat cada dos días.

194. El método de cualquiera de las reivindicaciones 190-192, en donde la formulación comprende una forma de dosificación oral.

195. El método de la reivindicación 194, en donde la forma de dosificación oral comprende un comprimido, una cápsula o una solución.

196. El método de cualquiera de las reivindicaciones 190-195, en donde el migalastat o una sal del mismo se administra durante por lo menos 6 meses.

197. El método de cualquiera de las reivindicaciones 190-196, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una reducción promedio del volumen de inclusiones de GL-3 por podocito en un grupo de pacientes no tratados previamente con ERT de por lo menos aproximadamente 30% después de 6 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

198. El método de cualquiera de las reivindicaciones 190-197, en donde la administración de migalastat o una sal del mismo provee una reducción promedio del volumen de inclusiones de GL-3 por podocito en un grupo de pacientes no

tratados previamente con ERT de aproximadamente 50% después de 6 meses de administración de migalastat o una sal del mismo.

199. El método de cualquiera de las reivindicaciones
5 190-198, en donde el paciente es un paciente no tratado previamente con ERT.

200. El método de cualquiera de las reivindicaciones 190-198, en donde el paciente es un paciente tratado previamente con ERT.