



(51) International Patent Classification:

A61K 31/519 (2006.01) *A61P 7/00* (2006.01)

(21) International Application Number:

PCT/US2020/055410

(22) International Filing Date:

13 October 2020 (13.10.2020)

(25) Filing Language:

English

(26) Publication Language:

English

(30) Priority Data:

62/914,688 14 October 2019 (14.10.2019) US
62/951,302 20 December 2019 (20.12.2019) US

(71) Applicant: **PRINCIPIA BIOPHARMA INC.** [US/US];
220 East Grand Avenue, South San Francisco, California
94080 (US).

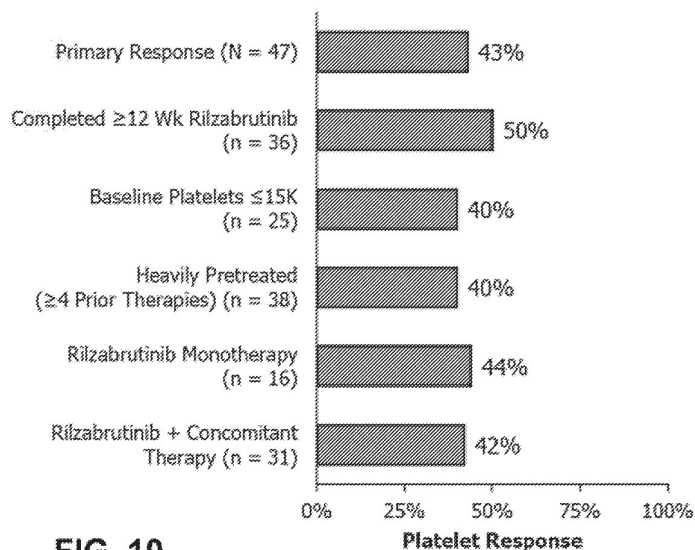
(72) Inventors: **GOURLAY, Steven**; 25 Henry St., Queens
Park, New South Wales 2022 (AU). **NEALE, Ann**; c/o
Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Avenue, South

San Francisco, California 94080 (US). **NUNN, Philip**;
c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Avenue,
South San Francisco, California 94080 (US). **LANGRISH,**
Claire; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Av-
enue, South San Francisco, California 94080 (US). **BAND-**
MAN, Olga; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand
Avenue, South San Francisco, California 94080 (US).
THOMAS, Dolca; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East
Grand Avenue, South San Francisco, California 94080
(US).

(74) Agent: **MADL, Amy C.** et al.; Finnegan, Henderson,
Farabow, Garrett & Dunner, LLP, 901 New York Avenue,
NW, Washington, District of Columbia 20001-4413 (US).

(81) Designated States (*unless otherwise indicated, for every
kind of national protection available*): AE, AG, AL, AM,
AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ,
CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO,
DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN,
HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, IT, JO, JP, KE, KG, KH, KN,
KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD,

(54) Title: METHODS FOR TREATING IMMUNE THROMBOCYTOPENIA BY ADMINISTERING (R)-2-[3-[4-AMINO-3-(2-FLUORO-4-PHENOXY-PHENYL)PYRAZOLO[3,4-D]PYRIMIDIN-1-YL]PIPERIDINE-1-CARBONYL]-4-METHYL-4-[4-(OXETAN-3-YL)PIPERAZIN-1-YL]PENT-2-ENENITRILE

**FIG. 10**

(57) Abstract: Methods for treating immune thrombocytopenia comprising administering at least one compound chosen from (R)-2-[3-[4-amino-3-(2-fluoro-4-phenoxy-phenyl)pyrazolo[3,4-d]pyrimidin-1-yl]piperidine-1-carbonyl]-4-methyl-4-[4-(oxetan-3-yl)piperazin-1-yl]pent-2-enenitrile (PRN1008) and pharmaceutically acceptable salts thereof are disclosed. Pharmaceutical compositions comprising at least one compound chosen from PRN1008 and pharmaceutically acceptable salts thereof are also disclosed.

(12) SOLICITUD INTERNACIONAL PUBLICADA BAJO EL TRATADO DE COOPERACIÓN EN MATERIA DE PATENTES (PCT)

(19) Organización Mundial de la
Propiedad Intelectual
Oficina Internacional



(10) Número de publicación internacional

(43) Fecha de publicación internacional
22 abril 2021 (22.04.2021)

WO 2021/076514 A1

(51) Clasificación Internacional de Patentes:
A61K 31/519 (2006.01) **A61P 7/00** (2006.01)

(21) Número de solicitud internacional:
PCT/US2020/055410

(22) Fecha de presentación internacional:
13 octubre 2020 (08.10.2020)

(25) Idioma de la presentación:
Inglés

(26) Idioma de la publicación:
Inglés

(30) Datos de prioridad:
62/914,688 14 octubre 2019 (14.10.2019) EE.UU.
62/951,302 20 diciembre 2019 (20.12.2019) EE.UU.

(71) Solicitante: **PRINCIPIA BIOPHARMA INC.**
[EE.UU./EE.UU.]; 220 East Grand Avenue, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.).

(72) Inventores: **GOURLAY, Steven**; 25 Henry St., Queens Park, New South Wales 2022 (AU). **NEALE, Ann**; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Avenue, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.). **NUNN, Philip**; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Avenue, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.). **LANGRISH, Claire**; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Avenue, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.). **BANDMAN, Olga**; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Avenue, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.). **THOMAS, Dolca**; c/o Principia Biopharma Inc., 220 East Grand Avenue, South San Francisco, California 94080 (EE.UU.).

(74) Agente: **MADL, Amy C.** et al.; Finnegan, Henderson, Farabow, Garret & Dunner, LLP, 901 New York Avenue, NW, Washington, District of Columbia 20001-4413 (EE.UU.).

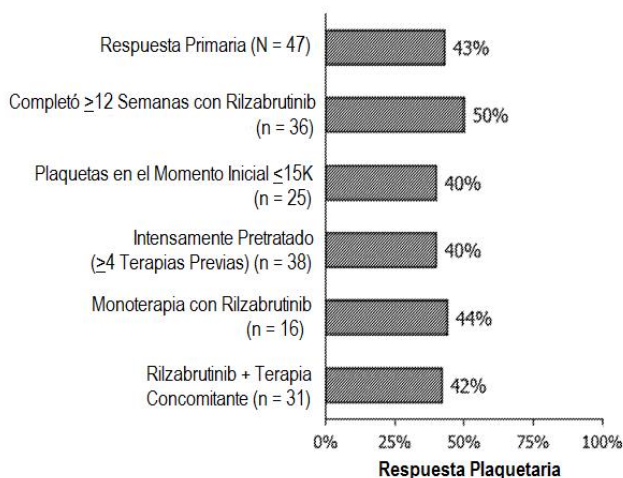
(81) Estados designados (a menos que se indique otra cosa, para todo tipo de protección nacional disponible): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

(84) Estados designados (a menos que se indique otra cosa, para todo tipo de protección regional disponible): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), euroasiática (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), europea (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG)

Publicada:
--- con informe de búsqueda internacional (Art. 21(3))

(54) Título: MÉTODOS PARA EL TRATAMIENTO DE LA TROMBOCITOPENIA INMUNITARIA MEDIANTE LA ADMINISTRACIÓN DE (R)-2-[3-[4-AMINO-3-(2-FLUORO-4-FENOXI-FENIL)PIRAZOLO[3,4-D]PIRIMIDIN-1-IL]PIPERIDINO-1-CARBONIL]-4-METIL-4-[4-(OXETAN-3-IL)PIPERAZIN-1-IL]PENT-2-ENONITRILLO

FIG. 10



(57) Resumen: Se divulgan métodos para tratar la trombocitopenia inmunitaria que comprenden administrar al menos un compuesto elegido entre (R)-2-[3-[4-amino-3-(2-fluoro-4-fenoxi-fenil)pirazolo[3,4-d]pirimidin-1-il]piperidino-1-carbonil]-4-metil-4-[4-(oxetan-3-il)piperazin-1-il]pent-2-enonitrilo (PRN1008) y sus sales farmacéuticamente aceptables. También se divulgan composiciones farmacéuticas que comprenden al menos un compuesto elegido entre PRN1008 y sus sales farmacéuticamente aceptables.

WO 2021/0765145 A1