

Винахід стосується інгібіторів глікозилцерамід-синтази (GCS), застосовних для лікування хвороб обміну речовин, таких як лізосомні хвороби накопичення, застосовних або одних, або в комбінації з ферментною замісною терапією, для лікування кістозної хвороби або для лікування раку.