

【公報種別】特許法第17条の2の規定による補正の掲載

【部門区分】第3部門第2区分

【発行日】平成27年9月10日(2015.9.10)

【公表番号】特表2014-513141(P2014-513141A)

【公表日】平成26年5月29日(2014.5.29)

【年通号数】公開・登録公報2014-028

【出願番号】特願2014-509519(P2014-509519)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/519 (2006.01)

A 6 1 P 13/12 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/519

A 6 1 P 13/12

A 6 1 P 43/00 1 1 1

【手続補正書】

【提出日】平成27年7月23日(2015.7.23)

【手続補正1】

【補正対象書類名】特許請求の範囲

【補正対象項目名】全文

【補正方法】変更

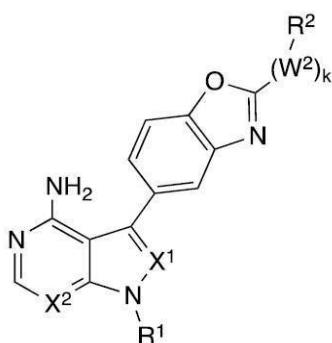
【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

多発性嚢胞腎質量の低減を必要とする対象における多発性嚢胞腎質量を低減するための組成物であって、前記組成物は、治療上有効量の式(I)

【化28】



式(I)

の化合物を含み、式中、

X<sup>1</sup>は、Nであり、

X<sup>2</sup>は、Nであり、

W<sup>2</sup>は、-N R<sup>7</sup> -または-N(R<sup>7</sup>)C(O)-であり、

kは、1であり、

R<sup>1</sup>は、R<sup>3</sup>によって置換されたかまたは置換されていないC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>2</sup>は、水素またはC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>3</sup>は、水素または-OHであり、

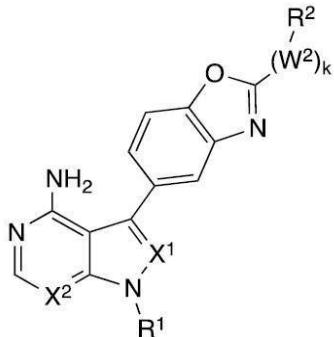
R<sup>7</sup>は、水素であり、

前記組成物が前記対象に投与されることを特徴とする、組成物。

## 【請求項 2】

対象における多発性囊胞腎の囊胞体積を低減するための組成物であつて、前記組成物は、多発性囊胞腎の囊胞体積を低減するに十分な量の式（I）

## 【化 2 8】



式 (I)

の化合物を含み、式中、

X<sup>1</sup> は、N であり、

X<sup>2</sup> は、N であり、

W<sup>2</sup> は、-NR<sup>7</sup>- または -N(R<sup>7</sup>)C(O)- であり、

k は、1 であり、

R<sup>1</sup> は、R<sup>3</sup> によって置換されたかまたは置換されていないC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>2</sup> は、水素またはC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>3</sup> は、水素または-OH であり、

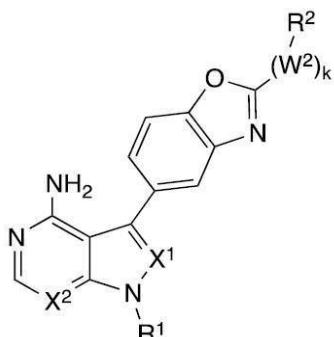
R<sup>7</sup> は、水素であり、

前記組成物が囊胞細胞と接触されることを特徴とする、組成物。

## 【請求項 3】

糸球体数の増加を必要とする対象における糸球体数を増加させるための組成物であつて、前記組成物は、治療有効量の式（I）

## 【化 2 8】



式 (I)

の化合物を含み、式中、

X<sup>1</sup> は、N であり、

X<sup>2</sup> は、N であり、

W<sup>2</sup> は、-NR<sup>7</sup>- または -N(R<sup>7</sup>)C(O)- であり、

k は、1 であり、

R<sup>1</sup> は、R<sup>3</sup> によって置換されたかまたは置換されていないC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>2</sup> は、水素またはC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>3</sup> は、水素または-OH であり、

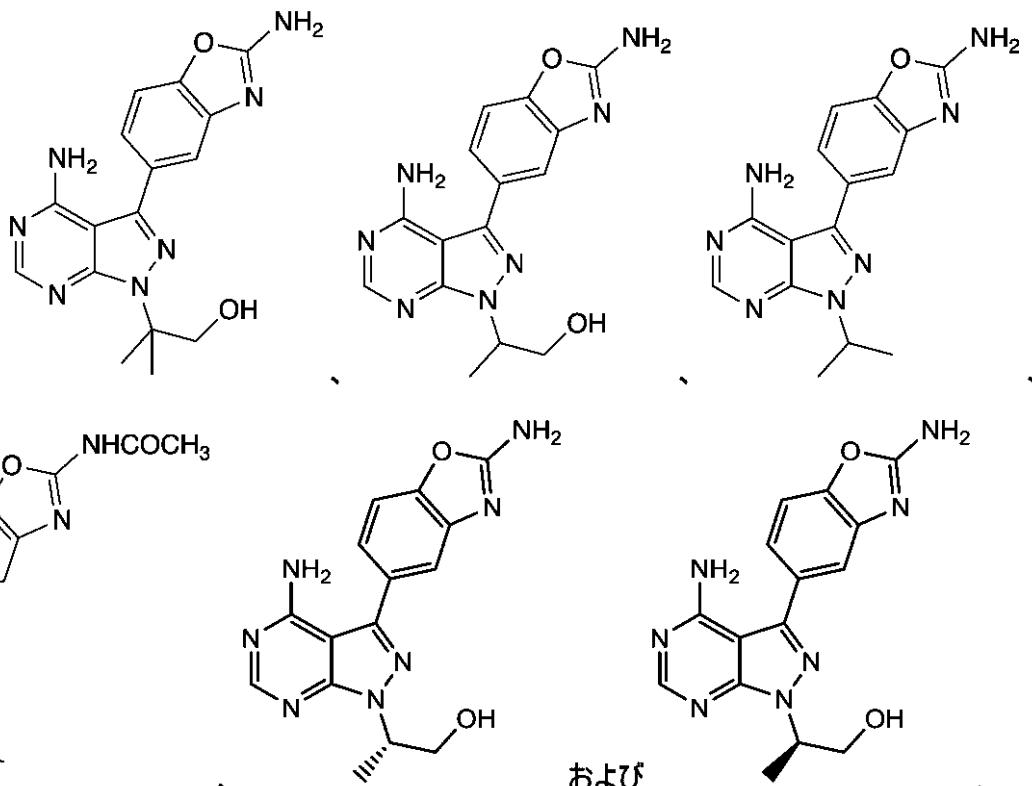
R<sup>7</sup> は、水素であり、

前記組成物が前記対象に投与されることを特徴とする、組成物。

**【請求項 4】**

前記化合物が

**【化 3 3】**

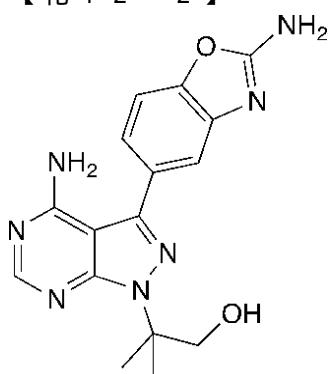


からなる群より選択される、請求項 1 ~ 3 のうちの一項に記載の組成物。

**【請求項 5】**

前記化合物が

**【化 1 2 - 2】**

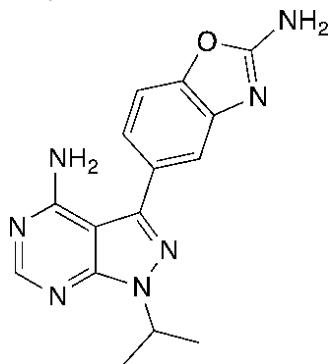


である、請求項 1 ~ 3 のうちの一項に記載の組成物。

**【請求項 6】**

前記化合物が

## 【化14-2】



である、請求項1～3のうちの一項に記載の組成物。

## 【請求項7】

前記組成物は、非経口で、経口で、腹腔内に、静脈内に、動脈内に、経皮的に、筋肉内に、リポソームで、カテーテルもしくはステントによる局所送達を介して、皮下に、脂肪内に（intraadiposally）、または髄腔内に投与されることを特徴とする、請求項1～6のうちの一項に記載の組成物。

## 【請求項8】

前記組成物は、対象における腎質量を少なくとも10%低減する、請求項1、4、5または6のうちの一項に記載の組成物。

## 【請求項9】

前記組成物は、対象における腎質量を少なくとも50%低減する、請求項1、4、5または6のうちの一項に記載の組成物。

## 【請求項10】

前記組成物は、対象における正規化された腎質量を少なくとも10%低減する、請求項1、4、5または6のうちの一項に記載の組成物。

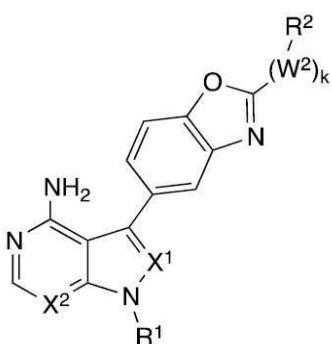
## 【請求項11】

前記組成物は、別の治療を対象に施す前、それと同時、またはその後に投与されることを特徴とする、請求項1～10のうちの一項に記載の組成物。

## 【請求項12】

多発性囊胞腎質量の低減を必要とする対象における多発性囊胞腎質量を低減するための薬の製造における式(I)

## 【化28】



式(I)

の化合物の使用であって、式中、

X<sup>1</sup>は、Nであり、

X<sup>2</sup>は、Nであり、

W<sup>2</sup>は、-NR<sup>7</sup>-または-N(R<sup>7</sup>)C(O)-であり、

k は、1 であり、

R<sup>1</sup> は、R<sup>3</sup> によって置換されたかまたは置換されていない C<sub>1~10</sub> アルキルであり、

R<sup>2</sup> は、水素または C<sub>1~10</sub> アルキルであり、

R<sup>3</sup> は、水素または -OH であり、

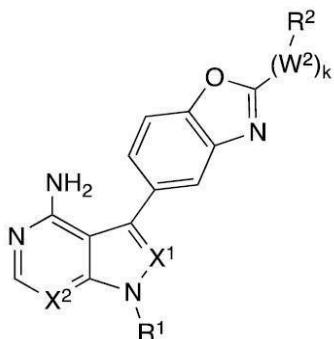
R<sup>7</sup> は、水素であり、

治療有効量の前記薬が前記対象に投与されることを特徴とする、使用。

【請求項 1 3】

対象における多発性囊胞腎の囊胞体積を低減するための薬の製造における式（I）

【化 2 8】



式 (I)

の化合物の使用であって、式中、

X<sup>1</sup> は、N であり、

X<sup>2</sup> は、N であり、

W<sup>2</sup> は、-NR<sup>7</sup>- または -N(R<sup>7</sup>)C(O)- であり、

k は、1 であり、

R<sup>1</sup> は、R<sup>3</sup> によって置換されたかまたは置換されていない C<sub>1~10</sub> アルキルであり、

R<sup>2</sup> は、水素または C<sub>1~10</sub> アルキルであり、

R<sup>3</sup> は、水素または -OH であり、

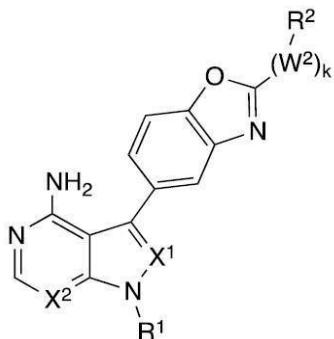
R<sup>7</sup> は、水素であり、

十分な量の前記化合物を含む薬が囊胞細胞と接触されることを特徴とする、使用。

【請求項 1 4】

糸球体数の増加を必要とする対象における糸球体数を増加させるための薬の製造における式（I）

【化 2 8】



式 (I)

の化合物の使用であって、式中、

X<sup>1</sup> は、N であり、

X<sup>2</sup> は、N であり、

W<sup>2</sup>は、-N R<sup>7</sup>-または-N(R<sup>7</sup>)C(O)-であり、  
kは、1であり、

R<sup>1</sup>は、R<sup>3</sup>によって置換されたかまたは置換されていないC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>2</sup>は、水素またはC<sub>1-10</sub>アルキルであり、

R<sup>3</sup>は、水素または-OHであり、

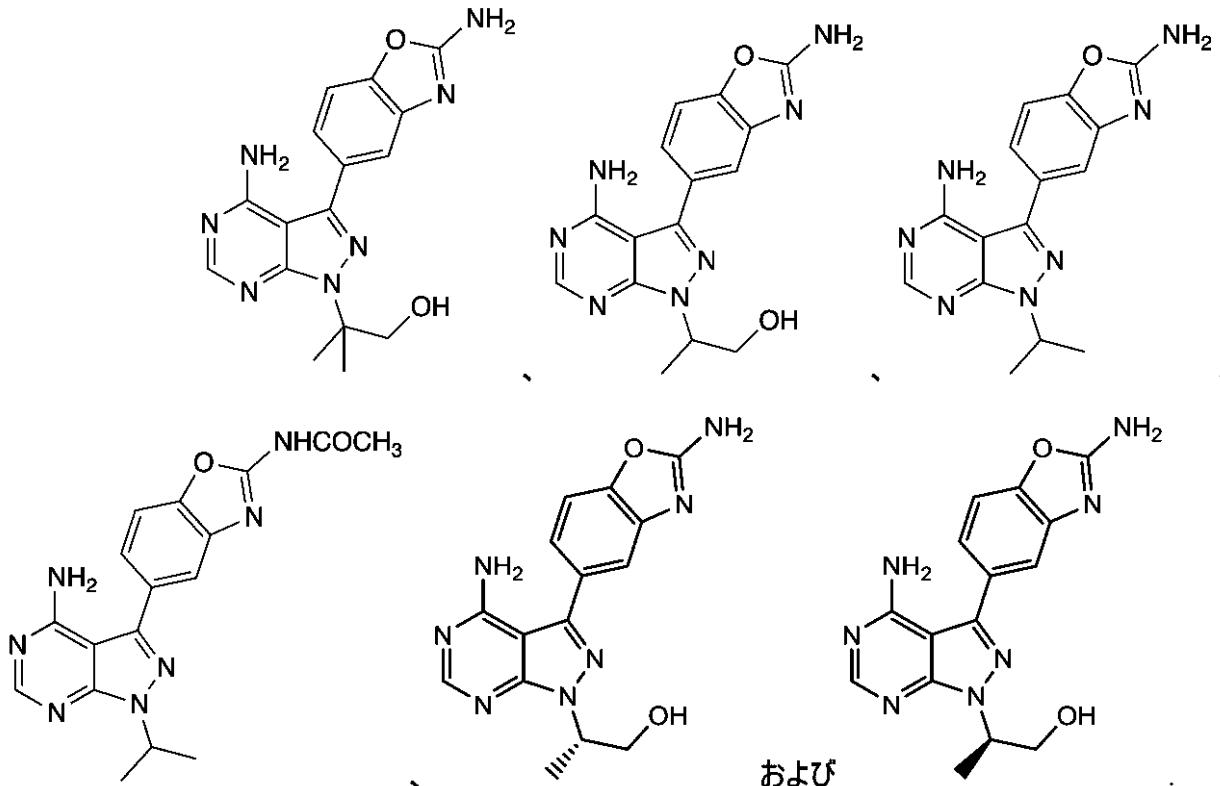
R<sup>7</sup>は、水素であり、

治療有効量の前記薬が前記対象に投与されることを特徴とする、使用。

**【請求項 15】**

前記化合物が

**【化 3 3】**

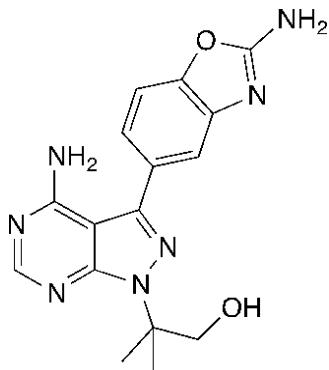


からなる群より選択される、請求項 12～14 のうちの一項に記載の使用。

**【請求項 16】**

前記化合物が

**【化 1 2 - 2】**

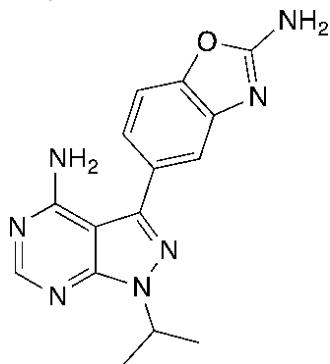


である、請求項 12～14 のうちの一項に記載の使用。

**【請求項 17】**

前記化合物が

## 【化14-2】



である、請求項12～14のうちの一項に記載の使用。

## 【請求項18】

前記薬は、非経口で、経口で、腹腔内に、静脈内に、動脈内に、経皮的に、筋肉内に、リポソームで、カテーテルもしくはステントによる局所送達を介して、皮下に、脂肪内に、または髄腔内に投与されることを特徴とする、請求項12～17のうちの一項に記載の使用。

## 【請求項19】

前記薬は、対象における腎質量を少なくとも10%低減する、請求項12、15、16または17のうちの一項に記載の使用。

## 【請求項20】

前記薬は、対象における腎質量を少なくとも50%低減する、請求項12、15、16または17のうちの一項に記載の使用。

## 【請求項21】

前記薬は、対象における正規化された腎質量を少なくとも10%低減する、請求項12、15、16または17のうちの一項に記載の使用。

## 【請求項22】

前記薬は、別の治療を対象に施す前、それと同時、またはその後に投与されることを特徴とする、請求項12～21のうちの一項に記載の使用。