

【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】令和2年6月25日(2020.6.25)

【公表番号】特表2019-516730(P2019-516730A)

【公表日】令和1年6月20日(2019.6.20)

【年通号数】公開・登録公報2019-023

【出願番号】特願2018-560674(P2018-560674)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7125 (2006.01)

A 6 1 K 47/02 (2006.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7125

A 6 1 K 47/02

A 6 1 P 21/04

【手続補正書】

【提出日】令和2年5月15日(2020.5.15)

【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】

- a) エテプリルセン、
- b) 塩化ナトリウム、
- c) 塩化カリウム、
- d) 第一リン酸カリウム、
- e) 第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含む医薬組成物であって、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約50mg/mLである、医薬組成物。

【請求項2】

- a) 40~60mgのエテプリルセン、
- b) 6.4~9.6mgの塩化ナトリウム、
- c) 0.16~0.24mgの塩化カリウム、
- d) 0.16~0.24mgの第一リン酸カリウム、
- e) 0.91~1.37mgの第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約50mg/mLである、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項3】

約50mgのエテプリルセンを含む、請求項2に記載の医薬組成物。

【請求項4】

- a) 約50mgのエテプリルセン、
- b) 約8mgの塩化ナトリウム、
- c) 約0.2mgの塩化カリウム、
- d) 約0.2mgの第一リン酸カリウム、

- e) 約 1.14 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

- a) 80 ~ 120 mg のエテプリルセン、
- b) 12.8 ~ 19.2 mg の塩化ナトリウム、
- c) 0.32 ~ 0.48 mg の塩化カリウム、
- d) 0.32 ~ 0.48 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 1.02 ~ 1.54 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

約 100 mg のエテプリルセンを含む、請求項 5 に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

- a) 約 100 mg のエテプリルセン、
- b) 約 16 mg の塩化ナトリウム、
- c) 約 0.4 mg の塩化カリウム、
- d) 約 0.4 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 約 2.28 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、請求項 5 に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

- a) 400 ~ 600 mg のエテプリルセン、
- b) 64 ~ 96 mg の塩化ナトリウム、
- c) 1.6 ~ 2.4 mg の塩化カリウム、
- d) 1.6 ~ 2.4 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 9.0 ~ 14.0 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 9】

約 500 mg のエテプリルセンを含む、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

- a) 約 500 mg のエテプリルセン、
- b) 約 80 mg の塩化ナトリウム、
- c) 約 2 mg の塩化カリウム、
- d) 約 2 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 約 11.4 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

- a) 約 5 w / v % のエテプリルセン、
- b) 約 0.8 w / v % の塩化ナトリウム、
- c) 約 0.02 w / v % の塩化カリウム、
- d) 約 0.02 w / v % の第一リン酸カリウム、
- e) 約 0.114 w / v % の第二リン酸ナトリウム、および

f) 水

を含む、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 2】

- a) 約 50 mg / mL のエテプリルセン、
- b) 約 8 mg / mL の塩化ナトリウム、
- c) 約 0.2 mg / mL の塩化カリウム、
- d) 約 0.2 mg / mL の第一リン酸カリウム、
- e) 約 1.14 mg / mL の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含む、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 3】

前記医薬組成物の pH は約 7.5 であり、前記医薬組成物の重量オスモル濃度は約 260 mOsm ~ 約 320 mOsm の範囲である、請求項 1 ~ 1 2 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 1 4】

請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の医薬組成物であって、それを必要とする被験体におけるデュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) を治療するためのものであり、前記被験体はエクソン 51 スキップに適しているジストロフィン遺伝子の変異を有する、医薬組成物。

【請求項 1 5】

それを必要とする被験体におけるデュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) を治療するための薬剤の製造のための請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の医薬組成物の使用であって、前記被験体はエクソン 51 スキップに適しているジストロフィン遺伝子の変異を有する、使用。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0014

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0014】

別の態様では、本明細書で提供される医薬組成物を被験体に投与することを含む、それを必要とする被験体における筋疾患を治療する方法が、本明細書に提供される。

特定の実施形態では、例えば以下の項目が提供される。

(項目 1)

- a) エテプリルセン、
- b) 塩化ナトリウム、
- c) 塩化カリウム、
- d) 第一リン酸カリウム、
- e) 第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含む医薬組成物であって、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、医薬組成物。

(項目 2)

- a) 40 ~ 60 mg のエテプリルセン、
- b) 6.4 ~ 9.6 mg の塩化ナトリウム、
- c) 0.16 ~ 0.24 mg の塩化カリウム、
- d) 0.16 ~ 0.24 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 0.91 ~ 1.37 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、項目 1 に記載の医薬組成物。

(項目 3)

約 50 mg のエテプリルセンを含む、項目 2 に記載の医薬組成物。

(項目 4)

- a) 約 50 mg のエテプリルセン、
- b) 約 8 mg の塩化ナトリウム、
- c) 約 0.2 mg の塩化カリウム、
- d) 約 0.2 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 約 1.14 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、項目 1 に記載の医薬組成物。

(項目 5)

- a) 80 ~ 120 mg のエテプリルセン、
- b) 12.8 ~ 19.2 mg の塩化ナトリウム、
- c) 0.32 ~ 0.48 mg の塩化カリウム、
- d) 0.32 ~ 0.48 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 1.02 ~ 1.54 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、項目 1 に記載の医薬組成物。

(項目 6)

約 100 mg のエテプリルセンを含む、項目 5 に記載の医薬組成物。

(項目 7)

- a) 約 100 mg のエテプリルセン、
- b) 約 16 mg の塩化ナトリウム、
- c) 約 0.4 mg の塩化カリウム、
- d) 約 0.4 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 約 2.28 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、項目 5 に記載の医薬組成物。

(項目 8)

- a) 400 ~ 600 mg のエテプリルセン、
- b) 64 ~ 96 mg の塩化ナトリウム、
- c) 1.6 ~ 2.4 mg の塩化カリウム、
- d) 1.6 ~ 2.4 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 9.0 ~ 14.0 mg の第二リン酸ナトリウム、および
- f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、項目 1 に記載の医薬組成物。

(項目 9)

約 500 mg のエテプリルセンを含む、項目 8 に記載の医薬組成物。

(項目 10)

- a) 約 500 mg のエテプリルセン、
- b) 約 80 mg の塩化ナトリウム、
- c) 約 2 mg の塩化カリウム、
- d) 約 2 mg の第一リン酸カリウム、
- e) 約 11.4 mg の第二リン酸ナトリウム、および

f) 水

を含み、エテプリルセンの濃度は前記医薬組成物の約 50 mg / mL である、項目 8 に記載の医薬組成物。

(項目 11)

a) 約 5 w / v % のエテプリルセン、

b) 約 0.8 w / v % の塩化ナトリウム、

c) 約 0.02 w / v % の塩化カリウム、

d) 約 0.02 w / v % の第一リン酸カリウム、

e) 約 0.114 w / v % の第二リン酸ナトリウム、および

f) 水

を含む、項目 1 に記載の医薬組成物。

(項目 12)

a) 約 50 mg / mL のエテプリルセン、

b) 約 8 mg / mL の塩化ナトリウム、

c) 約 0.2 mg / mL の塩化カリウム、

d) 約 0.2 mg / mL の第一リン酸カリウム、

e) 約 1.14 mg / mL の第二リン酸ナトリウム、および

f) 水

を含む、項目 1 に記載の医薬組成物。

(項目 13)

前記医薬組成物の pH は約 7.5 であり、前記医薬組成物の重量オスモル濃度は約 260 mOsm ~ 約 320 mOsm の範囲である、項目 1 ~ 12 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

(項目 14)

それを必要とする被験体におけるデュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) を治療するための方法であって、前記被験体はエクソン 51 スキップに適しているジストロフィン遺伝子の変異を有し、項目 1 ~ 13 のいずれか一項に記載の医薬組成物を前記被験体に投与することを含む、方法。

(項目 15)

それを必要とする被験体におけるデュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) を治療するための薬剤の製造のための項目 1 ~ 13 のいずれか一項に記載の医薬組成物の使用であって、前記被験体はエクソン 51 スキップに適しているジストロフィン遺伝子の変異を有する、使用。