

【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 1 月 30 日 (2020.1.30)

【公表番号】特表 2017-507158 (P2017-507158A)

【公表日】平成 29 年 3 月 16 日 (2017.3.16)

【年通号数】公開・登録公報 2017-011

【出願番号】特願 2016-555713 (P2016-555713)

【国際特許分類】

C 07 D 271/06 (2006.01)

A 61 K 31/4245 (2006.01)

A 61 P 27/02 (2006.01)

A 61 P 27/06 (2006.01)

A 61 P 27/12 (2006.01)

A 61 P 27/10 (2006.01)

【F I】

C 07 D 271/06 C S P

A 61 K 31/4245

A 61 P 27/02

A 61 P 27/06

A 61 P 27/12

A 61 P 27/10

【誤訳訂正書】

【提出日】令和 1 年 11 月 22 日 (2019.11.22)

【誤訳訂正 1】

【訂正対象書類名】特許請求の範囲

【訂正対象項目名】全文

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を有している患者における、ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を、処置すること、予防すること、または管理することのための薬学的組成物の製造における、結晶塩の、使用であって、

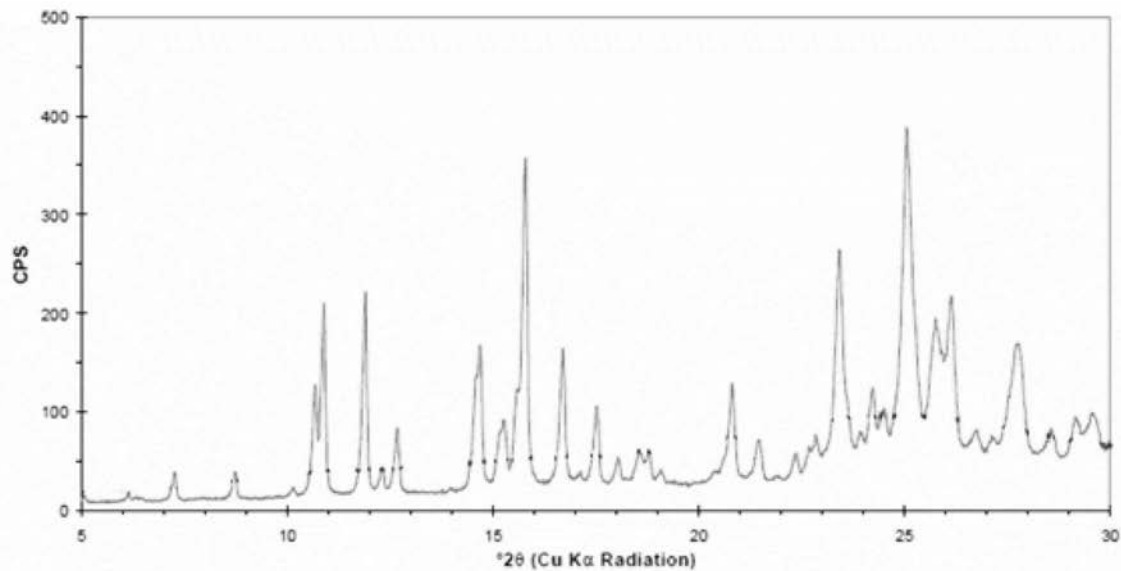
上記処置すること、予防すること、または管理することが、有効量の上記結晶塩の形態を、上記患者に投与することを包含し、

上記眼疾患が、無虹彩、先天性脈絡膜欠如、網膜欠損症症候群、レーバー先天性黒内障、網膜色素変性症、パルデー - ビードル症候群、緑内障、中心窩形成不全、白内障、アッシャー症候群、中枢性聴覚処理障害、脈絡網膜変性症、先天性の水晶体混濁、高眼圧、滲出性の血管網膜症、緑内障、虹彩形成不全、角膜症（角膜変性症）、視神経形成不全、網膜剥離、続発性の斜視、および水晶体血管膜からなる群から選択され、

上記結晶塩は、3 - [ 5 - ( 2 - フルオロ - フェニル ) - [ 1 , 2 , 4 ] オキサジアゾール - 3 - イル ] 安息香酸およびマグネシウムを含んでおり、

上記結晶塩の形態は、下記図 2 に示されている X 線粉末回折パターンを有している、使用。

[ 図 2 ]



【請求項 2】

ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を有している患者における、ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を、処置すること、予防すること、または管理することのための薬学的組成物の製造における、結晶塩の、使用であって、

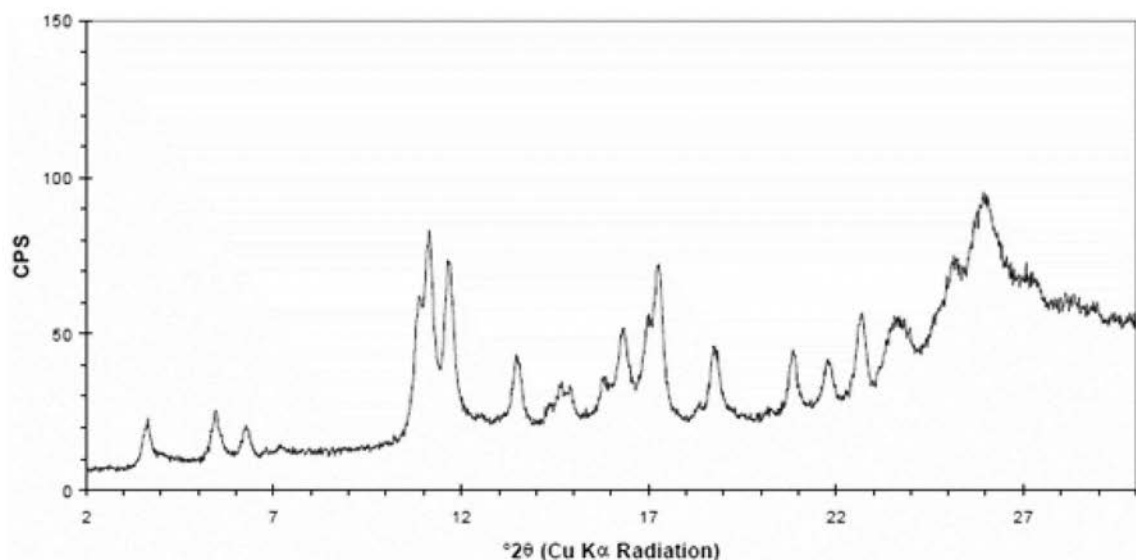
上記処置すること、予防すること、または管理することが、有効量の上記結晶塩の形態を、上記患者に投与することを包含し、

上記眼疾患が、無虹彩、先天性脈絡膜欠如、網膜欠損症症候群、レーバー先天性黒内障、網膜色素変性症、バルデー - ビードル症候群、緑内障、中心窩形成不全、白内障、アッシャー症候群、中枢性聴覚処理障害、脈絡網膜変性症、先天性の水晶体混濁、高眼圧、滲出性の血管網膜症、緑内障、虹彩形成不全、角膜症（角膜変性症）、視神経形成不全、網膜剥離、続発性の斜視、および水晶体血管膜からなる群から選択され、

上記結晶塩は、3 - [ 5 - ( 2 - フルオロ - フェニル ) - [ 1 , 2 , 4 ] オキサジアゾール - 3 - イル ] 安息香酸およびカリウムを含んでおり、

上記結晶塩の形態は、下記図 4 に示されている X 線粉末回折パターンを有している、使用。

[ 図 4 ]



【請求項 3】

ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を有している患者における、ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を、処置すること、予防すること、または管理することのための薬学的組成物の製造における、結晶塩の、使用であって、

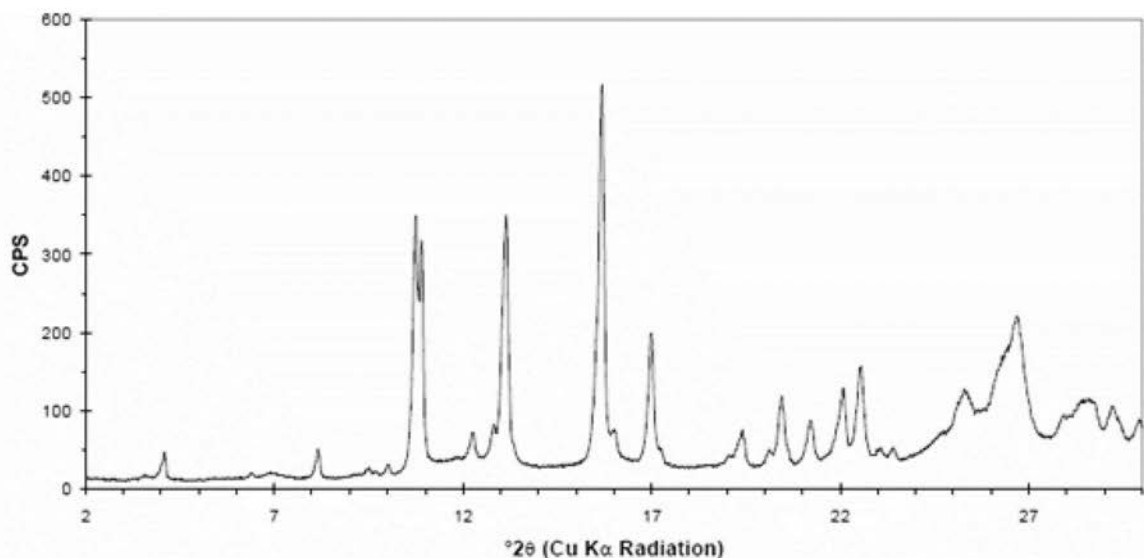
上記処置すること、予防すること、または管理することが、有効量の上記結晶塩の形態を、上記患者に投与することを包含し、

上記眼疾患が、無虹彩、先天性脈絡膜欠如、網膜欠損症症候群、レーバー先天性黒内障、網膜色素変性症、バルデー - ビードル症候群、緑内障、中心窩形成不全、白内障、アッシャー症候群、中枢性聴覚処理障害、脈絡網膜変性症、先天性の水晶体混濁、高眼圧、滲出性の血管網膜症、緑内障、虹彩形成不全、角膜症（角膜変性症）、視神経形成不全、網膜剥離、続発性の斜視、および水晶体血管膜からなる群から選択され、

上記結晶塩は、3 - [ 5 - ( 2 - フルオロ - フェニル ) - [ 1 , 2 , 4 ] オキサジアゾール - 3 - イル ] 安息香酸およびナトリウムを含んでおり、

上記結晶塩の形態は、下記図 6 に示されている X 線粉末回折パターンを有している、使用。

[ 図 6 ]



#### 【請求項 4】

ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を有している患者における、ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を、処置すること、予防すること、または管理することのための薬学的組成物の製造における、結晶塩の、使用であって、

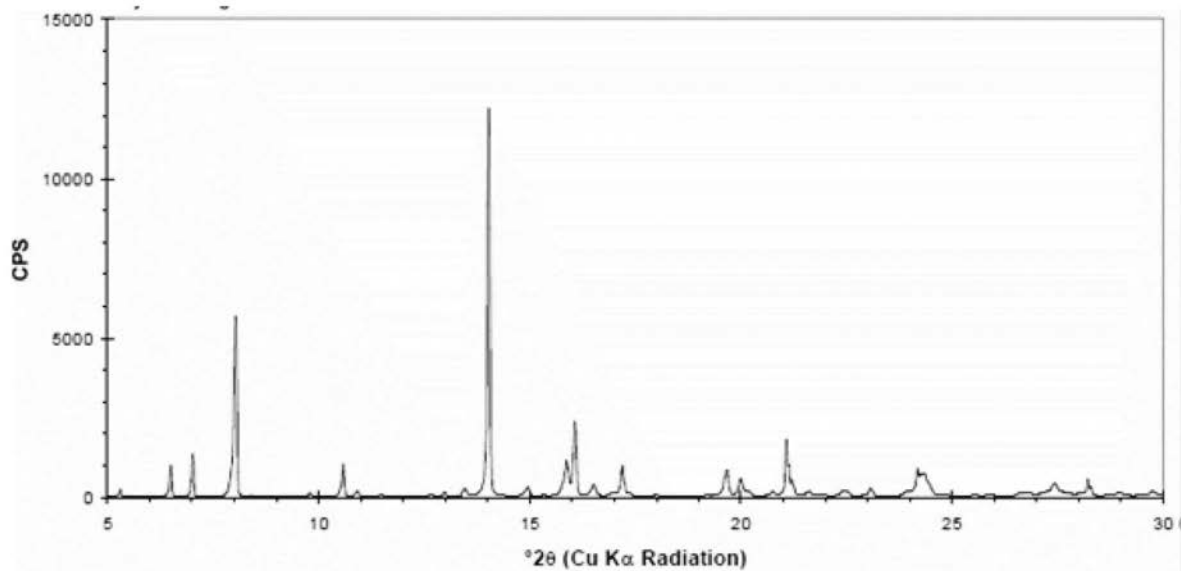
上記処置すること、予防すること、または管理することが、有効量の上記結晶塩の形態を、上記患者に投与することを包含し、

上記眼疾患が、無虹彩、先天性脈絡膜欠如、網膜欠損症症候群、レーバー先天性黒内障、網膜色素変性症、バルデー - ビードル症候群、緑内障、中心窩形成不全、白内障、アッシャー症候群、中枢性聴覚処理障害、脈絡網膜変性症、先天性の水晶体混濁、高眼圧、滲出性の血管網膜症、緑内障、虹彩形成不全、角膜症（角膜変性症）、視神経形成不全、網膜剥離、続発性の斜視、および水晶体血管膜からなる群から選択され、

上記結晶塩は、3 - [ 5 - ( 2 - フルオロ - フェニル ) - [ 1 , 2 , 4 ] オキサジアゾール - 3 - イル ] 安息香酸およびトロメタミンを含んでおり、

上記結晶塩の形態は、下記図 8 に示されている X 線粉末回折パターンを有している、使用。

[ 図 8 ]



【請求項 5】

ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を有している患者における、ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を、処置すること、予防すること、または管理することのための薬学的組成物の製造における、結晶塩の、使用であって、

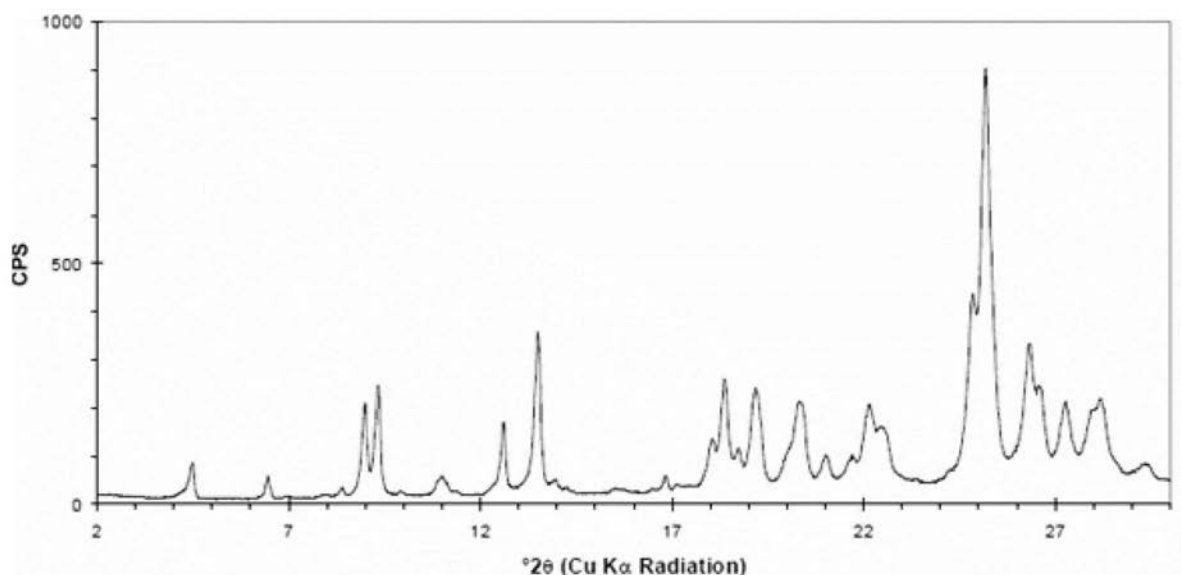
上記処置すること、予防すること、または管理することが、有効量の上記結晶塩の形態を、上記患者に投与することを包含し、

上記眼疾患が、無虹彩、先天性脈絡膜欠如、網膜欠損症症候群、レーバー先天性黒内障、網膜色素変性症、バルデー - ビードル症候群、緑内障、中心窩形成不全、白内障、アッシャー症候群、中枢性聴覚処理障害、脈絡網膜変性症、先天性の水晶体混濁、高眼圧、滲出性の血管網膜症、緑内障、虹彩形成不全、角膜症（角膜変性症）、視神経形成不全、網膜剥離、続発性の斜視、および水晶体血管膜からなる群から選択され、

上記結晶塩は、3 - [ 5 - ( 2 - フルオロ - フェニル ) - [ 1 , 2 , 4 ] オキサジアゾール - 3 - イル ] 安息香酸および L - リジンを含んでおり、

上記結晶塩の形態は、下記図 1 2 に示されている X 線粉末回折パターンを有している、  
使用。

[ 図 1 2 ]



## 【請求項 6】

ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を有している患者における、ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を、処置すること、予防すること、または管理することのための薬学的組成物の製造における、結晶塩の、使用であって、

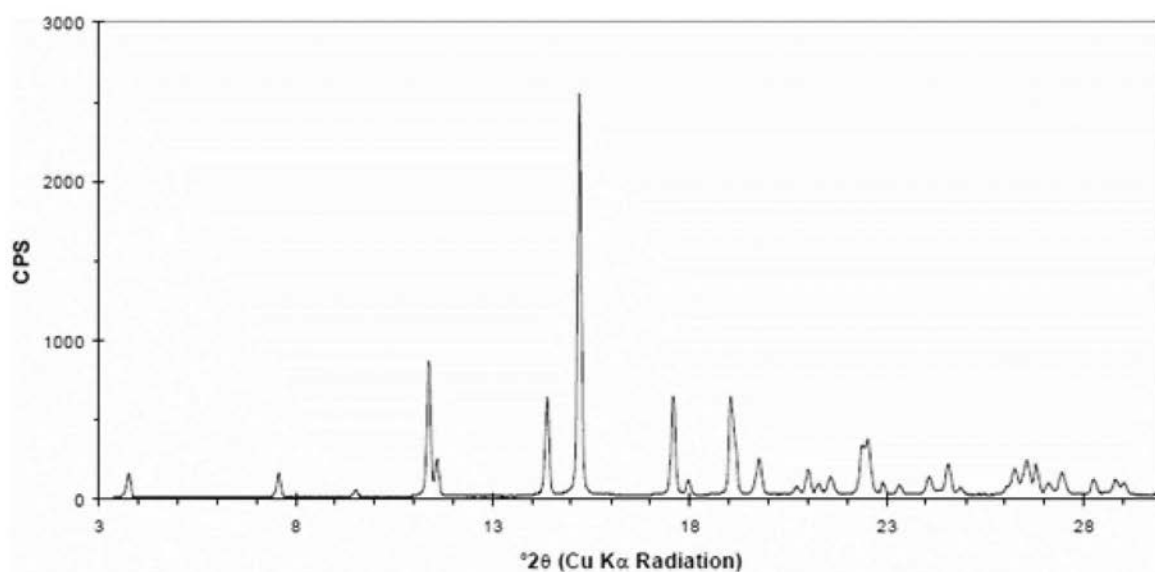
上記処置すること、予防すること、または管理することが、有効量の上記結晶塩の形態を、上記患者に投与することを包含し、

上記眼疾患が、無虹彩、先天性脈絡膜欠如、網膜欠損症症候群、レーバー先天性黒内障、網膜色素変性症、パルデー - ビードル症候群、緑内障、中心窩形成不全、白内障、アッシャー症候群、中枢性聴覚処理障害、脈絡網膜変性症、先天性の水晶体混濁、高眼圧、滲出性の血管網膜症、緑内障、虹彩形成不全、角膜症（角膜変性症）、視神経形成不全、網膜剥離、続発性の斜視、および水晶体血管膜からなる群から選択され、

上記結晶塩は、3 - [ 5 - ( 2 - フルオロ - フェニル ) - [ 1 , 2 , 4 ] オキサジアゾール - 3 - イル ] 安息香酸および L - アルギニンを含んでおり、

上記結晶塩の形態は、下記図 1 4 に示されている X 線粉末回折パターンを有している、使用。

[ 図 1 4 ]



## 【請求項 7】

ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を有している患者における、ナンセンス変異または未熟終結コドンと関連付けられている眼疾患を、処置すること、予防すること、または管理することのための薬学的組成物の製造における、結晶塩の、使用であって、

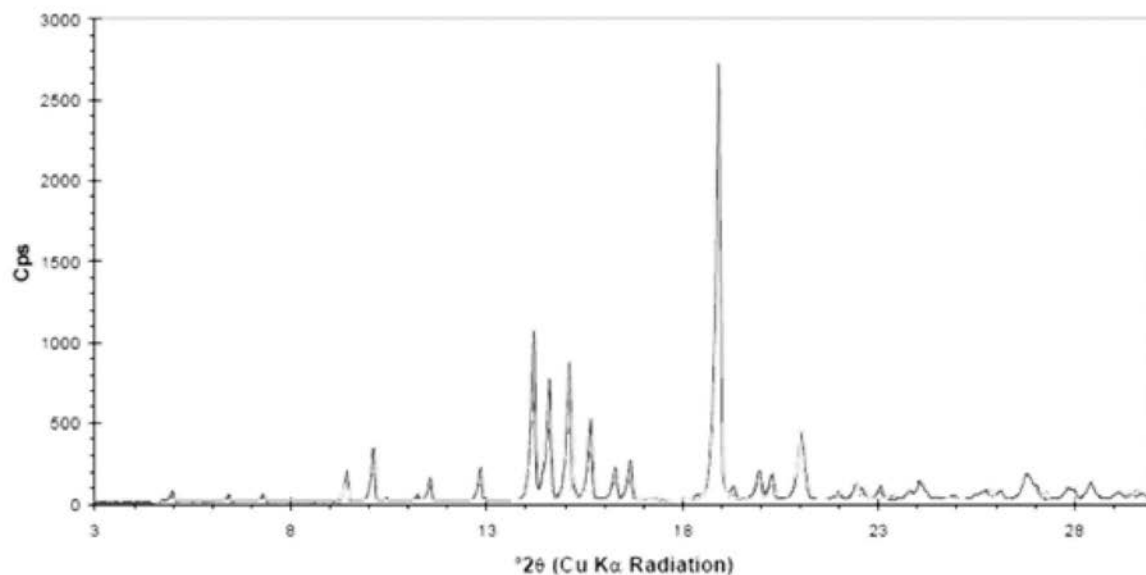
上記処置すること、予防すること、または管理することが、有効量の上記結晶塩の形態を、上記患者に投与することを包含し、

上記眼疾患が、無虹彩、先天性脈絡膜欠如、網膜欠損症症候群、レーバー先天性黒内障、網膜色素変性症、パルデー - ビードル症候群、緑内障、中心窩形成不全、白内障、アッシャー症候群、中枢性聴覚処理障害、脈絡網膜変性症、先天性の水晶体混濁、高眼圧、滲出性の血管網膜症、緑内障、虹彩形成不全、角膜症（角膜変性症）、視神経形成不全、網膜剥離、続発性の斜視、および水晶体血管膜からなる群から選択され、

上記結晶塩は、3 - [ 5 - ( 2 - フルオロ - フェニル ) - [ 1 , 2 , 4 ] オキサジアゾール - 3 - イル ] 安息香酸および L - ヒスチジンを含んでおり、

上記結晶塩の形態は、下記図 1 6 に示されている X 線粉末回折パターンを有している、使用。

[ 図 1 6 ]



## 【誤訳訂正 2】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0 1 0 9

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0 1 0 9】

点眼剤は、化合物 1 もしくは薬学的に許容可能なその塩、およびカチオン性の修飾剤を、滅菌の水性溶液に溶解させることによってか、または溶解される粉末組成物を使用前に組み合わせることによって、調製され得る。他の添加剤（例えば、等張化剤（例えば、塩化ナトリウム、ホウ酸、マンニトール、ソルビトール、トレハロースおよびグリセリンなど）、緩衝化剤（例えば、ホウ酸、リン酸水素ナトリウムおよびリン酸二水素ナトリウムなど）、防腐剤（例えば、塩化ベンザルコニウム、塩化ベンゼトニウム、エチレンジアミンテトラ酢酸（EDTA）ナトリウム、ポリクオタニウム - 1（PolyQuad）、ポリヘキサメチレンピグアニウム（PHMB）およびクロロブタノールなど）、糖類増粘剤（例えば、ラクトース、マンニトールおよびマルトースなど）、ヒアルロン酸もしくはその塩（例えば、ヒアルロン酸ナトリウムおよびヒアルロン酸カリウムなど）、ムコ多糖（例えば、コンドロイチン硫酸など）、湿潤ポリマー（例えば、ポリアクリル酸ナトリウム、カルボキシビニル重合体および架橋されているポリアクリル酸など））は、点眼剤に含められ得る。

## 【誤訳訂正 3】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0 1 2 6

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0 1 2 6】

一部の実施形態において、重合体は、ビヒクルの粘度を向上させ、これによって、角膜との溶液剤の接触を延長させ、かつ生体適合性を向上させるために、眼科製剤に加えられ得る。一部の実施形態において、そのような重合体は、セルロース誘導體（例えば、メチルセルロース、ヒドロキシエチルセルロース、ヒドロキシプロピルセルロース、またはカルボキシメチルセルロース）、デキストラン 70、ゼラチン、ポリオール、グリセリン、ポリエチレングリコール 300、ポリエチレングリコール 400、ポリソルベート 80、プロピレングリコール、ポリビニルアルコールおよびポビドン、またはこれらの組合せから選択される。

## 【誤訳訂正 4】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0 1 3 7

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0 1 3 7】

好適な潤滑剤としては、ステアリン酸カルシウム；ステアリン酸マグネシウム；石油；軽油；グリセリン；ソルビトール；マンニトール；グリコール（例えば、ベヘン酸グリセロールおよびポリエチレングリコール（PEG））；ステアリン酸；ラウリル硫酸ナトリウム；タルク；水素化された植物油（例えば、ピーナツ油、綿実油、ヒマワリ油、ゴマ油、オリーブ油、トウモロコシ油およびダイズ油）；ステアリン酸亜鉛；オレイン酸エチル；エチルラウリエート；寒天；リコポディウム；シリカもしくはシリカゲル（例えば、AEROSIL（登録商標）200（W.R. Grace Co.、Baltimore, MD）およびCAB-O-SIL（登録商標）（Cabot Co. of Boston、MA））；およびこれらの混合物が挙げられるが、これらに限定されない。本明細書に示されている薬学的組成物は約0.1～約5重量%の潤滑剤を含み得る。

## 【誤訳訂正 5】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0 1 7 5

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0 1 7 5】

（4.4.粒径）

本明細書に示されているのは、約2  $\mu\text{m}$ ～約12  $\mu\text{m}$ の体積加重平均直径 $D(4, 3)$ を有している、化合物1の形態である。また、本明細書に示されているのは、約1  $\mu\text{m}$ ～約3  $\mu\text{m}$ の表面加重平均直径 $D(3, 2)$ を有している、化合物1の形態である。さらに本明細書に示されているのは、約5  $\mu\text{m}$ ～約26  $\mu\text{m}$ の範囲における $D_{90}$ 粒径を有しており、約1  $\mu\text{m}$ ～約6  $\mu\text{m}$ の範囲における $D_{50}$ 粒径を有しており、約0.1  $\mu\text{m}$ ～約1.5  $\mu\text{m}$ の範囲における $D_{10}$ 粒径を有している、化合物1の形態である。