

【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28年9月23日(2016.9.23)

【公表番号】特表2016-517883(P2016-517883A)

【公表日】平成28年6月20日(2016.6.20)

【年通号数】公開・登録公報2016-037

【出願番号】特願2016-511718(P2016-511718)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/192 (2006.01)

A 6 1 P 13/12 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 5/14 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/192

A 6 1 P 13/12

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 5/14

【手続補正書】

【提出日】平成28年8月3日(2016.8.3)

【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】

経口投与のために製剤化され、有効量のソベチロムまたはその薬学的に許容される塩を含む、X連鎖副腎白質ジストロフィーを有するヒト被験体の処置における使用のための薬学的組成物。

【請求項2】

少なくとも30μgのソベチロムを含む、請求項1に記載の薬学的組成物。

【請求項3】

少なくとも50μgのソベチロムを含む、請求項2に記載の薬学的組成物。

【請求項4】

少なくとも100μgのソベチロムを含む、請求項3に記載の薬学的組成物。

【請求項5】

前記ヒト被験体は、X連鎖副腎白質ジストロフィーの少なくとも1つの症状を有する、請求項1～4のいずれかに記載の薬学的組成物。

【請求項6】

脳性麻痺を有する被験体の処置における使用のための薬学的組成物であって、有効量のソベチロムまたはその薬学的に許容される塩を含む薬学的組成物。

【請求項7】

脳性麻痺の少なくとも1つの症状が低減される、請求項6に記載の薬学的組成物。

【請求項8】

前記被験体は、ヒトである、請求項6または7に記載の薬学的組成物。

【請求項9】

経口投与のために製剤化される、請求項6～8のいずれかに記載の薬学的組成物。

【手続補正2】**【補正対象書類名】明細書****【補正対象項目名】0005****【補正方法】変更****【補正の内容】****【0005】**

奨励されてはいるものの、今日までに報告されたLOの試験は、転帰が過去のコントロールとの比較で報告されてきたプラセボコントロールなしの非盲検試験であったので、その真の効力については未確認なままである。その結果として、VLCFAのレベルを下げ、X-ALDの症状を防止するための代替のアプローチが、活発に追求されている最中である。いくつかの報告から、HMG-CoAレダクターゼインヒビターであるロバスタチンは、血漿VLCFAレベルを低下させることが示された。しかし、他で報告されたところでは、血漿VLCFAに対する効果は、LOで起こるようなVLCFAの生成の真の低下というよりむしろ、単にLDLおよび他のリポタンパク質の低下の結果である。ロバスタチンもしくは他のHMG-CoAレダクターゼインヒビターの臨床効力を評価する長期の治験は全く報告されていない。

本発明は、例えば、以下の項目も提供する。

(項目1)

X連鎖副腎白質ジストロフィーを有する被験体を処置するための医薬の製造におけるソベチロムまたはその薬学的に許容される塩の使用。

(項目2)

X連鎖副腎白質ジストロフィーの少なくとも1つの症状の進行が、低減される、項目1に記載の使用。

(項目3)

有効量は、少なくとも30μgである、項目1に記載の使用。

(項目4)

有効量は、少なくとも50μgである、項目2に記載の使用。

(項目5)

有効量は、少なくとも100μgである、項目3に記載の使用。

(項目6)

薬学的組成物が、経口投与される、項目1～5のいずれかに記載の使用。

(項目7)

前記被験体は、ヒトである、項目1～5のいずれかに記載の使用。

(項目8)

前記ヒト被験体は、X連鎖副腎白質ジストロフィーの少なくとも1つの症状を有する、項目7に記載の使用。

(項目9)

有効量のソベチロムを含む、X連鎖副腎白質ジストロフィーを有するヒト被験体の処置における使用のための薬学的組成物。

(項目10)

少なくとも30μgのソベチロムを含む、項目7に記載の薬学的組成物。

(項目11)

少なくとも50μgのソベチロムを含む、項目8に記載の薬学的組成物。

(項目12)

少なくとも100μgのソベチロムを含む、項目9に記載の薬学的組成物。

(項目13)

経口投与のために製剤化される、項目9～12のいずれかに記載の薬学的組成物。

(項目14)

脳性麻痺を有する被験体を処置するための医薬の製造におけるソベチロムまたはその薬学

的に許容される塩の使用。

(項目15)

脳性麻痺の少なくとも1つの症状が低減される、項目14に記載の使用。

(項目16)

前記被験体は、ヒトである、項目14に記載の使用。