

【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5年2月10日(2023.2.10)

【国際公開番号】WO2020/163337

【公表番号】特表2022-519131(P2022-519131A)

【公表日】令和4年3月18日(2022.3.18)

【年通号数】公開公報(特許)2022-049

【出願番号】特願2021-545384(P2021-545384)

【国際特許分類】

A 6 1 K 3 1 / 4 3 9 (2 0 0 6 . 0 1)

A 6 1 P 4 3 / 0 0 (2 0 0 6 . 0 1)

A 6 1 P 2 7 / 0 2 (2 0 0 6 . 0 1)

A 6 1 P 2 5 / 0 0 (2 0 0 6 . 0 1)

A 6 1 P 1 3 / 1 2 (2 0 0 6 . 0 1)

C 0 7 D 4 5 3 / 0 2 (2 0 0 6 . 0 1)

10

【F I】

A 6 1 K 3 1 / 4 3 9

A 6 1 P 4 3 / 0 0 1 0 5

A 6 1 P 2 7 / 0 2

A 6 1 P 2 5 / 0 0

A 6 1 P 1 3 / 1 2

C 0 7 D 4 5 3 / 0 2

20

【手続補正書】

【提出日】令和5年2月2日(2023.2.2)

【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

30

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

(a) それを必要とする対象における、織毛病を処置するための；もしくは

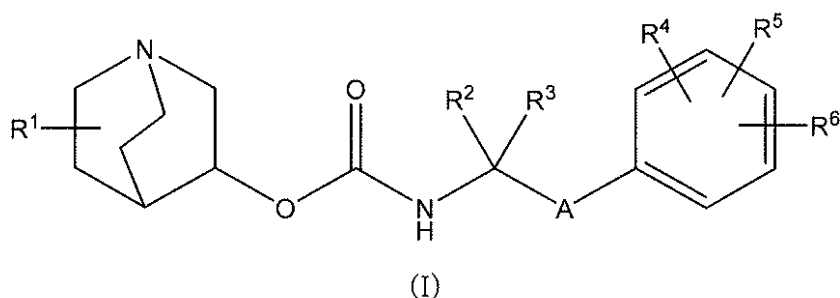
(b) 織毛病に罹患している対象における、肥満、肝臓疾患、網膜変性症、嗅覚機能障害、高脂血症、2型糖尿病、および代謝症候群から選択される疾患または障害を処置するための；または

(c) それを必要とする対象、場合により織毛病を有する対象、において織毛機能を保存または改善するための；

方法で使用するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は、有効量の式(I)

40

【化1】



50

(式中：

R^1 は、水素、ハロゲン（例えば、フッ素）、シアノ、ニトロ、ヒドロキシ、チオ、アミノ、 $C_{1\sim 6}$ -アルキル（例えば、メチルまたはエチル）、 $C_{2\sim 6}$ -アルケニル、 $C_{2\sim 6}$ -アルキニル、 $C_{1\sim 6}$ -アルキルオキシ、 $C_{2\sim 6}$ -アルケニルオキシ、および $C_{2\sim 6}$ -アルキニルオキシから選択され、ここで、前記アルキル、アルケニル、アルキニル、アルキルオキシ、アルケニルオキシ、またはアルキニルオキシは、ハロゲン、シアノ、ニトロ、ヒドロキシ、チオまたはアミノから選択される1つまたはそれ以上（例えば、1、2または3つ）の基で場合により置換されており；

R^2 および R^3 は、1つもしくはそれ以上（例えば1、2もしくは3つ）のハロゲンによって場合により置換された $C_{1\sim 3}$ -アルキルから独立して選択されるか、または R^2 および R^3 は、1つもしくはそれ以上（例えば1もしくは2つ）のハロゲンによって場合により置換されたシクロプロピルもしくはシクロブチル基を一緒に形成し；

R^4 、 R^5 および R^6 は、水素、ハロゲン、ニトロ、ヒドロキシ、チオ、アミノ、 $C_{1\sim 6}$ -アルキル、および $C_{1\sim 6}$ -アルキルオキシからそれぞれ独立して選択され、ここで、前記アルキルまたはアルキルオキシは、ハロゲン、ヒドロキシ、シアノ、および $C_{1\sim 6}$ -アルキルオキシから選択される1つまたはそれ以上（例えば1、2または3つ）の基によって場合により置換されており；

Aは、ハロゲン、ヒドロキシ、チオ、アミノ、ニトロ、 $C_{1\sim 6}$ アルコキシおよび $C_{1\sim 6}$ アルキルから独立して選択される1、2または3つの基で場合により置換された5または6員アリアルまたはヘテロアリアル基（例えば、フェニルまたはチアゾリル）である）の化合物またはその薬学的に許容される塩もしくはプロドラッグを含む、前記医薬組成物。

【請求項2】

(a) R^1 は、水素、フッ素、メチルおよびエチルから選択され、前記メチルまたはエチルは、ハロゲン、ヒドロキシ、チオまたはアミノから選択される1または2つの基によって場合により置換されている；

(b) R^2 および R^3 は、1つまたはそれ以上のフッ素で場合により置換されたメチルおよびエチル基からそれぞれ独立して選択される；

(c) R^4 は、ハロゲン（例えば、フッ素）、 $C_{1\sim 3}$ -アルキル（例えば、メチル）および $C_{1\sim 3}$ -アルキルオキシ（例えば、メトキシまたはエトキシ）から選択され、ここで、前記アルキルまたはアルキルオキシは、ハロゲンおよび $C_{1\sim 3}$ -アルキルオキシ（例えば、メトキシまたはエトキシ）から選択される1つまたはそれ以上（例えば、1、2または3つ）の基によって場合により置換されている；

(d) R^5 および R^6 はそれぞれ水素である；

(e) R^4 は、フッ素または2-メトキシエトキシであり、 R^5 および R^6 は水素である；

(f) R^4 は、それが結合しているフェニル環の4位に（すなわち、A置換基に対してパラで）位置する；

(g) Aは、ハロゲン、ヒドロキシ、チオ、アミノ、ニトロ、 $C_{1\sim 6}$ アルコキシおよび $C_{1\sim 6}$ アルキル（例えば、メチル）から独立して選択される1、2または3つの基で場合により置換されたフェニルであり、場合により、A置換基に結合している2つの基は、互いに1,3または1,4の関係で（すなわち、メタまたはパラで）位置する；ならびに/または

(h) Aは、NおよびSから選択される1または2つのヘテロ原子を含む5員ヘテロアリアル基であり、場合により、A置換基に結合している2つの基は、互いに1,3の関係で（すなわち、メタで）位置する；

請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項3】

前記化合物は、式(II)、(III)、(IV)、(V)、(VI)、(VII)または(VIII)の化合物またはその薬学的に許容される塩もしくはプロドラッグである、請求項1または2に記載の医薬組成物。

10

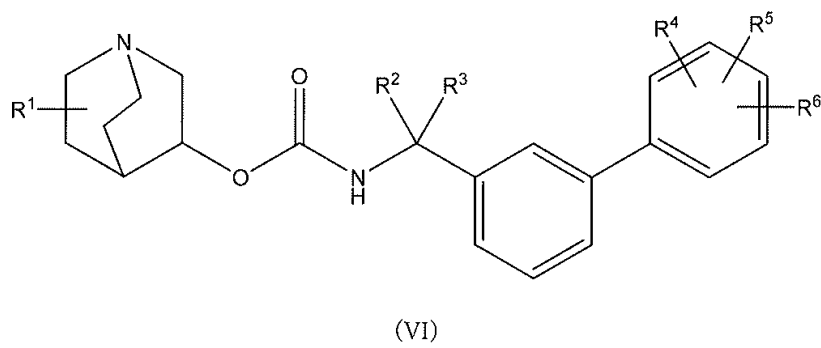
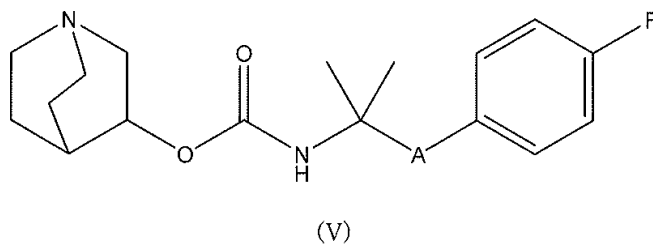
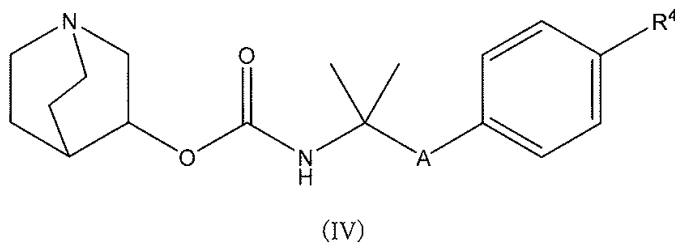
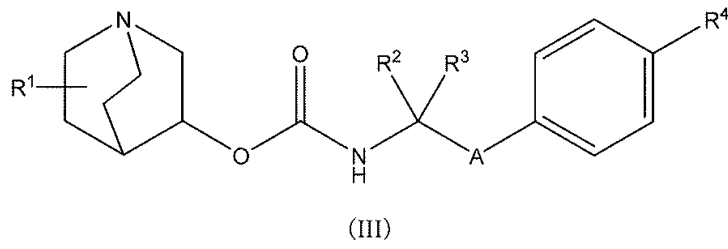
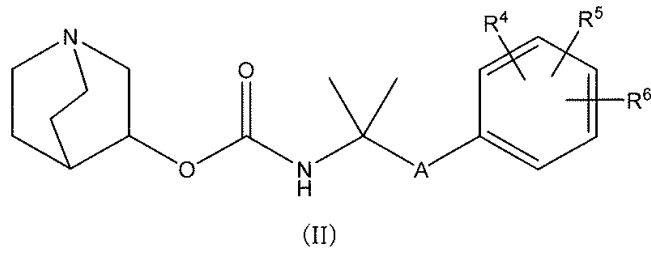
20

30

40

50

【化 2】



10

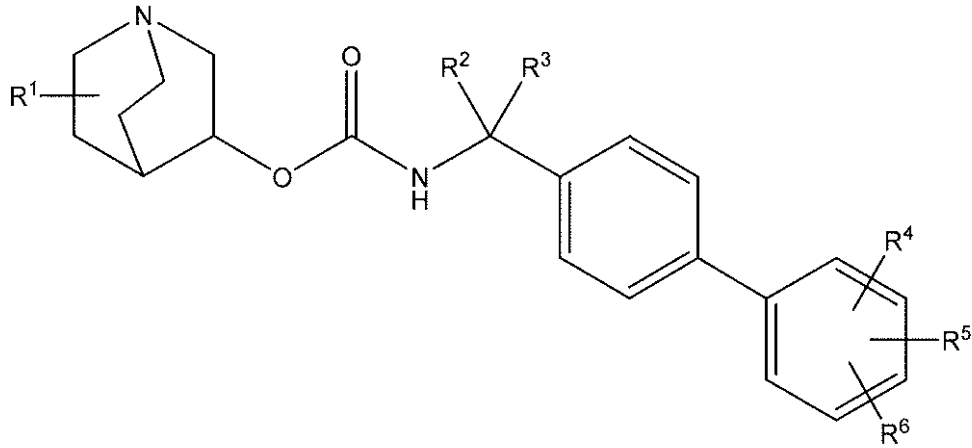
20

30

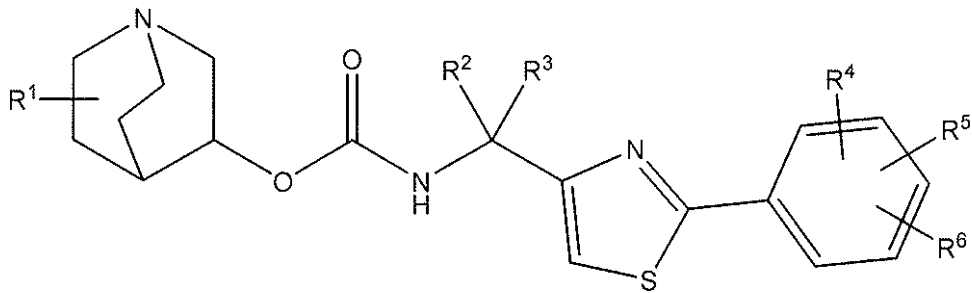
40

50

【化 3】



(VII)



(VIII)

【請求項 4】

前記化合物は、式 (IX) または (XI) の化合物またはその薬学的に許容される塩もしくはプロドラッグであり、場合により、R⁴ はフッ素である、請求項 1 ~ 3 のいずれか

10

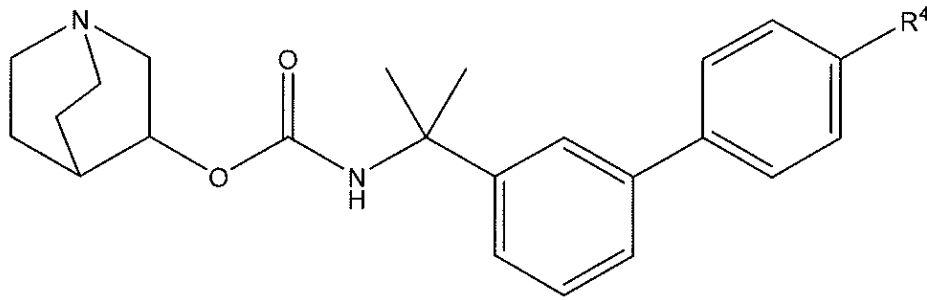
20

30

40

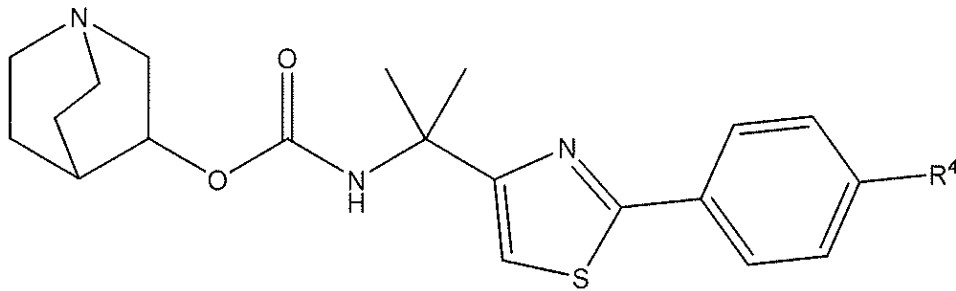
50

【化 4】



(IX)

10



(XI)

20

【請求項 5】

前記化合物は、キヌクリジン - 3 - イル (2 - (4 ' - フルオロ - [1 , 1 ' - ビフェニル] - 3 - イル) プロパン - 2 - イル) カルバメート ; (S) - キヌクリジン - 3 - イル (2 - (2 - (4 - フルオロフェニル) チアゾール - 4 - イル) プロパン - 2 - イル) カルバメート ; (S) - キヌクリジン - 3 - イル (2 - (4 ' - (2 - メトキシエトキシ) - [1 , 1 ' - ビフェニル] - 4 - イル) プロパン - 2 - イル) カルバメート ; ならびに、これらの薬学的に許容される塩およびプロドラッグである、請求項 1 に記載の医薬組成物。

30

【請求項 6】

前記化合物は、リンゴ酸塩の形態の (S) - キヌクリジン - 3 - イル (2 - (2 - (4 - フルオロフェニル) チアゾール - 4 - イル) プロパン - 2 - イル) カルバメートである、請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

繊維病は、ジュベール症候群、メッケルグラーバー症候群、シニアローケン症候群、口顔面指症候群 I 型、レーバー先天性黒内障、バルデービードル症候群 (B B S)、アムストレーム症候群、ジューン窒息性胸部ジストロフィー、エリスファンクレフェルト症候群、センセンブレナー症候群および原発性繊維毛ジスキネジアから選択される、請求項 1 ~ 6 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

40

【請求項 8】

繊維病は B B S である、請求項 7 に記載の医薬組成物。

【請求項 9】

前記対象は、哺乳動物、例えばヒトである、請求項 1 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

前記医薬組成物は、全身投与によって、例えば、非 - 非経口経路 (non-parenteral route) を介して投与され、場合により、前記医薬組成物は経口で投与される、請求項 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載の方法。

50

【請求項 1 1】

(i) 請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項で定義された化合物、またはその薬学的に許容される塩もしくはプロドラッグ； (i i) 纖毛病を処置または阻止することができる更なる薬剤；および (i i i) 薬学的に許容される賦形剤、を含む医薬組成物。

10

20

30

40

50