

【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4年9月29日(2022.9.29)

【国際公開番号】WO2020/072824

【公表番号】特表2022-504181(P2022-504181A)

【公表日】令和4年1月13日(2022.1.13)

【年通号数】公開公報(特許)2022-005

【出願番号】特願2021-518472(P2021-518472)

【国際特許分類】

A 61K 31/404(2006.01)

A 61P 25/00(2006.01)

A 61P 17/00(2006.01)

A 61P 11/00(2006.01)

A 61P 13/12(2006.01)

A 61P 29/00(2006.01)

A 61P 43/00(2006.01)

A 61K 9/20(2006.01)

A 61K 9/48(2006.01)

10

【F I】

20

A 61K 31/404

A 61P 25/00

A 61P 17/00

A 61P 11/00

A 61P 13/12

A 61P 29/00

A 61P 43/00 105

A 61K 9/20

A 61K 9/48

30

【手続補正書】

【提出日】令和4年9月20日(2022.9.20)

【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】

それを必要とする個体において全身性硬化症の治療および/または予防のための、治療有効量の(R)-2-(7-(4-シクロペンチル-3-(トリフルオロメチル)ベンジルオキシ)-1,2,3,4-テトラヒドロシクロペンタ[b]インドール-3-イル)酢酸(化合物1)、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物を含む、組成物。

40

【請求項2】

それを必要とする個体において強皮症の治療および/または予防のための、治療有効量の(R)-2-(7-(4-シクロペンチル-3-(トリフルオロメチル)ベンジルオキシ)-1,2,3,4-テトラヒドロシクロペンタ[b]インドール-3-イル)酢酸(化合物1)、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物を含む、組成物。

50

**【請求項 3】**

それを必要とする個体において状態の治療および／または予防のための、治療有効量の（R）-2-（7-（4-シクロペンチル-3-（トリフルオロメチル）ベンジルオキシ）-1，2，3，4-テトラヒドロシクロペニタ[b]インドール-3-イル）酢酸（化合物1）、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物を含む組成物であって、前記状態が、以下：全身性強皮症、びまん性全身性強皮症、限定性全身性強皮症、全身性硬化症、びまん性全身性硬化症、限定性全身性硬化症、強皮症、びまん性強皮症、限定性強皮症、C R E S T 症候群、びまん性皮膚全身性硬化症、限定性皮膚全身性硬化症、びまん性皮膚強皮症、限定性皮膚強皮症、限局性強皮症、モルフィア、線状強皮症、創創状強皮症（scleroderma en coup de sabre）、皮膚硬化のない強皮症、進行性全身性硬化症、進行性強皮症、関連する間質性肺疾患を伴う全身性硬化症、関連する間質性肺疾患を伴う強皮症、肺胞炎を伴う全身性硬化症、肺胞炎を伴う強皮症、全身性硬化症に関連する肺胞炎、強皮症に関連する肺胞炎、肺線維症（lung fibrosis）を伴う全身性硬化症、肺線維症（lung fibrosis）を伴う強皮症、全身性硬化症に関連する肺線維症（lung fibrosis）、強皮症に関連する肺線維症（lung fibrosis）、肺線維症（pulmonary fibrosis）を伴う全身性硬化症、肺線維症（pulmonary fibrosis）を伴う強皮症、全身性硬化症に関連する肺線維症（pulmonary fibrosis）、強皮症に関連する肺線維症（pulmonary fibrosis）、全身性硬化症に関連する腎発症、強皮症に関連する腎発症、線維性肺胞炎のエビデンスを伴うびまん性強皮症、およびびまん性皮膚病変を伴う全身性硬化症から選択される、組成物。

10

20

30

40

**【請求項 4】**

前記状態が、C R E S T 症候群である、請求項 3 に記載の組成物。

**【請求項 5】**

それを必要とする個体において皮膚線維症の治療および／または予防のための、治療有効量の（R）-2-（7-（4-シクロペンチル-3-（トリフルオロメチル）ベンジルオキシ）-1，2，3，4-テトラヒドロシクロペニタ[b]インドール-3-イル）酢酸（化合物1）、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物を含む、組成物。

**【請求項 6】**

前記個体が、炎症性腸疾患または過敏性腸症候群を有さない、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 7】**

前記個体が、潰瘍性大腸炎を有さない、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 8】**

前記個体が、クローン病を有さない、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 9】**

それを必要とする個体において全身性硬化症の治療および／または予防のための、医薬品の製造における、（R）-2-（7-（4-シクロペンチル-3-（トリフルオロメチル）ベンジルオキシ）-1，2，3，4-テトラヒドロシクロペニタ[b]インドール-3-イル）酢酸（化合物1）、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物の使用。

**【請求項 10】**

それを必要とする個体において強皮症の治療および／または予防のための、医薬品の製造における、（（R）-2-（7-（4-シクロペンチル-3-（トリフルオロメチル）ベンジルオキシ）-1，2，3，4-テトラヒドロシクロペニタ[b]インドール-3-イル）酢酸（化合物1）、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物の使用。

**【請求項 11】**

以下：全身性強皮症、びまん性全身性強皮症、限定性全身性強皮症、全身性硬化症、び

50

まん性全身性硬化症、限定性全身性硬化症、強皮症、びまん性強皮症、限定性強皮症、C R E S T 症候群、びまん性皮膚全身性硬化症、限定性皮膚全身性硬化症、びまん性皮膚強皮症、限定性皮膚強皮症、限局性強皮症、モルフィア、線状強皮症、剣創状強皮症 (scleroderma en coup de sabre)、皮膚硬化のない強皮症、進行性全身性硬化症、進行性強皮症、関連する間質性肺疾患を伴う全身性硬化症、関連する間質性肺疾患を伴う強皮症、肺胞炎を伴う全身性硬化症、肺胞炎を伴う強皮症、全身性硬化症に関連する肺胞炎、強皮症に関連する肺胞炎、肺線維症 (lung fibrosis) を伴う全身性硬化症、肺線維症 (lung fibrosis) を伴う強皮症、全身性硬化症に関連する肺線維症 (lung fibrosis) 、強皮症に関連する肺線維症 (lung fibrosis) 、肺線維症 (pulmonary fibrosis) を伴う全身性硬化症、肺線維症 (pulmonary fibrosis) を伴う強皮症、全身性硬化症に関連する肺線維症 (pulmonary fibrosis) 、強皮症に関連する肺線維症 (pulmonary fibrosis) 、全身性硬化症に関連する腎発症、強皮症に関連する腎発症、線維性肺胞炎のエビデンスを伴うびまん性強皮症、およびびまん性皮膚病変を伴う全身性硬化症から選択される状態の治療および／または予防のための医薬品の製造における、(R)-2-(7-(4-シクロペンチル-3-(トリフルオロメチル)ベンジルオキシ)-1,2,3,4-テトラヒドロシクロペニタ[b]インドール-3-イル)酢酸 (化合物1)、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物の使用。

10

20

30

40

50

#### 【請求項 12】

前記状態が、C R E S T 症候群である、請求項 11 に記載の使用。

#### 【請求項 13】

前記個体が、炎症性腸疾患または過敏性腸症候群を有さない、請求項 9～11 のいずれか一項に記載の使用。

#### 【請求項 14】

前記個体が、炎症性腸疾患または過敏性腸症候群を有さない、請求項 9～11 のいずれか一項に記載の使用。

#### 【請求項 15】

前記個体が、潰瘍性大腸炎を有さない、請求項 9～11 のいずれか一項に記載の使用。

#### 【請求項 16】

前記個体が、クローン病を有さない、請求項 9～11 のいずれか一項に記載の使用。

#### 【請求項 17】

前記化合物1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、約 1 mg～約 5 mg の化合物1に相当する量である、請求項 1～16 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

#### 【請求項 18】

前記化合物1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、約 1 mg～約 2 mg に相当する量である、請求項 1～17 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

#### 【請求項 19】

前記化合物1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、約 1 mg の化合物1に相当する量である、請求項 1～18 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

#### 【請求項 20】

前記化合物1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、約 2 mg の化合物1に相当する量である、請求項 1～19 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

#### 【請求項 21】

前記化合物1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、化合物1、化合物1のカルシウム塩、および化合物1のL-アルギニン塩から選択される、請

求項 1 ~ 2 0 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

【請求項 2 2】

前記化合物 1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、化合物 1 の L - アルギニン塩である、請求項 1 ~ 2 1 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

【請求項 2 3】

前記化合物 1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、前記化合物 1 の L - アルギニン塩の無水非溶媒和結晶形態である、請求項 1 ~ 2 2 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

【請求項 2 4】

前記化合物 1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、前記化合物 1 の非溶媒和 L - アルギニン塩の結晶性自由板晶癖である、請求項 1 ~ 2 3 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

【請求項 2 5】

前記化合物 1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、化合物 1 の無水非溶媒和結晶形態である、請求項 1 ~ 2 4 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

【請求項 2 6】

前記化合物 1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、経口投与される、請求項 1 ~ 2 5 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

【請求項 2 7】

前記化合物 1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、経口投与に好適なカプセルまたは錠剤として製剤化される、請求項 1 ~ 2 6 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

【請求項 2 8】

前記化合物 1、またはその薬学的に許容可能な塩、水和物、もしくは溶媒和物が、1 日 1 回投与される、請求項 1 ~ 2 7 のいずれか一項に記載の組成物または使用。

10

20

30

40

50