

【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4月14日 (2016.4.14)

【公表番号】特表2015-511583(P2015-511583A)

【公表日】平成27年4月20日 (2015.4.20)

【年通号数】公開・登録公報2015-026

【出願番号】特願2014-558972(P2014-558972)

【国際特許分類】

A 6 1 K	31/47	(2006.01)
A 6 1 K	9/20	(2006.01)
A 6 1 K	9/14	(2006.01)
A 6 1 K	47/26	(2006.01)
A 6 1 K	47/10	(2006.01)
A 6 1 K	47/12	(2006.01)
A 6 1 K	47/02	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	11/06	(2006.01)
A 6 1 P	11/02	(2006.01)
A 6 1 P	11/00	(2006.01)
A 6 1 P	1/10	(2006.01)
A 6 1 P	1/18	(2006.01)
A 6 1 P	15/08	(2006.01)
A 6 1 P	15/10	(2006.01)
A 6 1 P	37/08	(2006.01)
A 6 1 P	1/16	(2006.01)
A 6 1 P	7/10	(2006.01)
A 6 1 P	7/00	(2006.01)
A 6 1 P	3/10	(2006.01)
A 6 1 P	5/14	(2006.01)
A 6 1 P	17/00	(2006.01)
A 6 1 P	19/08	(2006.01)
A 6 1 P	13/12	(2006.01)
A 6 1 P	25/28	(2006.01)
A 6 1 P	25/16	(2006.01)
A 6 1 P	21/04	(2006.01)
A 6 1 P	21/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/14	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
A 6 1 P	27/04	(2006.01)
A 6 1 P	27/02	(2006.01)
A 6 1 P	19/10	(2006.01)
A 6 1 P	25/20	(2006.01)
A 6 1 P	25/22	(2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K	31/47
A 6 1 K	9/20
A 6 1 K	9/14
A 6 1 K	47/26
A 6 1 K	47/10

A 6 1 K	47/12	
A 6 1 K	47/02	
A 6 1 P	43/00	1 0 5
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 P	11/06	
A 6 1 P	11/02	
A 6 1 P	11/00	
A 6 1 P	1/10	
A 6 1 P	1/18	
A 6 1 P	15/08	
A 6 1 P	15/10	
A 6 1 P	37/08	
A 6 1 P	1/16	
A 6 1 P	7/10	
A 6 1 P	7/00	
A 6 1 P	3/10	
A 6 1 P	5/14	
A 6 1 P	17/00	
A 6 1 P	19/08	
A 6 1 P	13/12	
A 6 1 P	25/28	
A 6 1 P	25/16	
A 6 1 P	21/04	
A 6 1 P	21/00	
A 6 1 P	25/14	
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	27/04	
A 6 1 P	27/02	
A 6 1 P	19/10	
A 6 1 P	25/20	
A 6 1 P	25/22	

【手続補正書】**【提出日】**平成28年2月26日(2016.2.26)**【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】**明細書に記載の発明。**【手続補正 2】****【補正対象書類名】**明細書**【補正対象項目名】**0 1 2 7**【補正方法】**変更**【補正の内容】****【0 1 2 7】**

1つの態様では、本発明はまた、患者の疾患を処置するかまたはその重症度を低減する方法であって、該方法は、本明細書中に定義の組成物の1つを該患者に投与する工程を含み、且つ前記疾患が、嚢胞性線維症、喘息、喫煙誘導性COPD、慢性気管支炎、鼻副鼻腔炎、便秘、脾炎、脾機能不全、先天性両側精管欠損症(CBAVD)に起因する男性不妊症、軽度肺疾患、特発性脾炎、アレルギー性気管支肺アスペルギルス症(ABPA)、肝疾患、遺伝性気腫、遺伝性ヘモクロマトーシス、凝固-繊維素溶解欠乏症(例えば、プロテインC欠乏症など)、1型遺伝性血管浮腫、脂質プロセッシング欠損症(例えば、家族性高コレステロール血症など)、1型カイロミクロン血症、無リボタンパク質血症、リソソーム蓄積症(例えば、I細胞病/偽ハーラーなど)、ムコ多糖沈着症、サンドホフ/テイ・サックス、クリグラー・ナジャーII型、多腺性内分泌障害/高インスリン血症、真性糖尿病、ラロン型小人症、ミエロペルオキシダーゼ欠損症、原発性副甲状腺機能低下症、黒色腫、グリカノーシス(glycanosis)CDG1型、先天性甲状腺機能亢進症、骨形成不全症、遺伝性低フィブリノゲン血症、ACT欠損症、尿崩症(DI)、神経下垂体性DI、腎性DI、シャルコー・マリー・トゥース症候群、ペリツェウス・メルツバッシャー病、神経変性疾患(例えば、アルツハイマー病、パーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症、進行性核上麻痺、ピック病など)、いくつかのポリグルタミン神経障害(例えば、ハンチントン病、脊髄小脳性運動失調症I型、球脊髄性筋萎縮症、歯状核赤核淡蒼球ルイ体萎縮症(dentatorubral pallidoluysian atrophy)、および筋緊張性ジストロフィなど)、ならびに海綿状脳症(例えば、遺伝性クロイツフェルト・ヤコブ病(プリオンタンパク質プロセッシング欠損による)など)、ファブリー病、ゲルストマン・シュトロイスラー・シャインカー症候群、COPD、眼乾燥疾患、シェーグレン病、骨粗鬆症、骨減少症、ゴラム症候群、塩素チャネル病(例えば、先天性筋強直症(トムソン型およびベッカー型)、パーター症候群III型、デント病、癲癇、驚愕過剰症、リソソーム蓄積症、アンジェルマン症候群、および原発性線毛ジスキネジア(PCD)など)、線毛の構造および/または機能の遺伝性障害を示す用語(内蔵逆位を伴うPCD(カルタゲナー症候群としても公知)、内蔵逆位を伴わないPCD、および毛様体無形成を含む)から選択される方法を提供する。

本発明の実施形態において、例えば以下の項目が提供される。

(項目1)

薬学的組成物であって；

該薬学的組成物の約30重量パーセント～約50重量パーセントの量の非晶質または実質的に非晶質の化合物1の固体分散物；

該薬学的組成物の重量パーセントで約1.5wt%～約2.5wt%の量のスクラロース；

該薬学的組成物の重量基準で約4パーセント～約8パーセントの量のクロスカルメロスナトリウム；

該薬学的組成物の重量パーセントで約0.5wt%～約1.5wt%の量のコロイド状二酸化ケイ素；

該薬学的組成物の重量パーセントで約0.5wt%～約1.5wt%の量のステアリン酸マグネシウム；および

該薬学的組成物の重量基準でまとめて約30パーセント～約60パーセントの量の1種または1種より多くの充填剤を含有する、薬学的組成物。

(項目2)

前記1種または1種より多くの充填剤がマンニトールを含有する、項目1に記載の薬学的組成物。

(項目3)

前記1種または1種より多くの充填剤がラクトースを含有する、項目1または2に記載の薬学的組成物。

(項目4)

前記充填剤は、マンニトールおよびラクトースを約 3 : 1 のマンニトール対ラクトースの比で含有する、項目 3 に記載の薬学的組成物。

(項目 5)

前記充填剤は、マンニトールおよびラクトースを約 1 : 1 のマンニトール対ラクトースの比で含有する、項目 3 に記載の薬学的組成物。

(項目 6)

前記充填剤は、マンニトールおよびラクトースを約 1 : 3 のマンニトール対ラクトースの比で含有する、項目 3 に記載の薬学的組成物。

(項目 7)

前記 1 種または 1 種より多くの充填剤が、前記組成物の約 13.5 重量パーセントの量のマンニトールを含有する、項目 1 に記載の薬学的組成物。

(項目 8)

前記 1 種または 1 種より多くの充填剤がラクトースを含有する、項目 7 に記載の薬学的組成物。

(項目 9)

ラクトースは、前記組成物の約 41 重量パーセントの量で存在する、項目 8 に記載の薬学的組成物。

(項目 10)

前記クロスカルメロースナトリウムは、前記薬学的組成物の重量基準で約 6 パーセントの量で存在する、項目 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載の薬学的組成物。

(項目 11)

前記固体分散物は、前記薬学的組成物の約 35 重量パーセントの量で存在する、項目 1 ~ 10 のいずれか 1 項に記載の薬学的組成物。

(項目 12)

薬学的組成物であって：

該組成物の重量基準で約 35 wt % の固体分散物であって、該分散物は、該分散物の重量基準で約 80 wt % の実質的に非晶質または非晶質の化合物 1、該分散物の重量基準で約 19.5 wt % の HPMCAS、および該分散物の重量基準で約 0.5 wt % の SLS を含有する、固体分散物；

該組成物の重量基準で約 13.5 wt % のマンニトール；

該組成物の重量基準で約 41 wt % のラクトース；

該組成物の重量基準で約 2 wt % のスクラロース；

該組成物の重量基準で約 6 wt % のクロスカルメロースナトリウム；

該組成物の重量基準で約 1 wt % のコロイド状二酸化ケイ素；ならびに

該組成物の重量基準で約 1.5 wt % のステアリン酸マグネシウムを含有する、薬学的組成物。

(項目 13)

前記薬学的組成物は、1 個または複数の顆粒、ペレット、粒子またはミニ錠剤を含有する単位剤形であり、そして該単位剤形は、約 1 mg ~ 約 100 mg の実質的に非晶質または非晶質の化合物 1 を含有する、項目 1 ~ 12 のいずれか 1 項に記載の薬学的組成物。

(項目 14)

前記単位剤形は、約 50 mg からの実質的に非晶質または非晶質の化合物 1 を含有する、項目 13 に記載の薬学的組成物。

(項目 15)

前記単位剤形は、約 75 mg からの実質的に非晶質または非晶質の化合物 1 を含有する、項目 13 に記載の薬学的組成物。

(項目 16)

前記単位剤形は、約 25 個 ~ 約 40 個のミニ錠剤を含有する、項目 13 に記載の薬学的組成物。

(項目 17)

前記固体分散物は、前記薬学的組成物の約35重量パーセントの量で存在し、そして前記単位剤形は、約26個からのミニ錠剤を含有する、項目13に記載の薬学的組成物。

(項目18)

前記単位剤形は、約50mgの実質的に非晶質または非晶質の化合物1を含有する、項目17に記載の薬学的組成物。

(項目19)

前記固体分散物は、前記薬学的組成物の約35重量パーセントの量で存在し、そして前記単位剤形は、約39個からのミニ錠剤を含有する、項目13に記載の薬学的組成物。

(項目20)

前記単位剤形は、約75mgの実質的に非晶質または非晶質の化合物1を含有する、項目19に記載の薬学的組成物。

(項目21)

前記ミニ錠剤は、円柱形様、卵形様、円錐形様、球形様、楕円形様、多角形様、またはその組み合わせである形状を有し、そして該ミニ錠剤は、その最長寸法または直径として約2mmの長さを有する、項目16～20のいずれか1項に記載の薬学的組成物。

(項目22)

小児患者におけるCFTR媒介疾患を処置するかまたはその重症度を低減する方法であって、該方法は、該小児患者に、項目1～21のいずれか1項に記載の薬学的組成物を投与する工程を包含する、方法。

(項目23)

前記CFTR媒介疾患は、嚢胞性線維症、喘息、喫煙誘導性COPD、慢性気管支炎、鼻副鼻腔炎、便秘、脾炎、脾機能不全、先天性両側精管欠損症(CBAVD)に起因する男性不妊症、軽度肺疾患、特発性脾炎、アレルギー性気管支肺アスペルギルス症(ABPA)、肝疾患、遺伝性気腫、遺伝性ヘモクロマトーシス、凝固-繊維素溶解欠乏症(例えば、プロテインC欠乏症など)、1型遺伝性血管浮腫、脂質プロセッシング欠損症(例えば、家族性高コレステロール血症など)、1型カイロミクロン血症、無リボタンパク質血症、リソソーム蓄積症(例えば、I細胞病/偽ハーラーなど)、ムコ多糖沈着症、サンドホフ/テイ・サックス、クリグラー・ナジャーII型、多腺性内分泌障害/高インスリン血症、真性糖尿病、ラロン型小人症、ミエロペルオキシダーゼ欠損症、原発性副甲状腺機能低下症、黒色腫、グリカノーシスCDG1型、先天性甲状腺機能亢進症、骨形成不全症、遺伝性低フィブリノゲン血症、ACT欠損症、尿崩症(DI)、神経下垂体性DI、腎性DI、シャルコー・マリー・トゥース症候群、ペリツェーウス・メルツバッヒャー病、神経変性疾患(例えば、アルツハイマー病、パーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症、進行性核上麻痺、ピック病など)、いくつかのポリグルタミン神経障害(例えば、ハンチントン病、脊髄小脳性運動失調症I型、球脊髄性筋萎縮症、歯状核赤核淡蒼球ルイ体萎縮症、および筋緊張性ジストロフィなど)、ならびに海綿状脳症(例えば、遺伝性クロイツフェルト・ヤコブ病(プリオンタンパク質プロセッシング欠損による)など)、ファブリー病、ゲルストマン・シュトロイスラー・シャインカー症候群、COPD、眼乾燥疾患、シェーグレン病、骨粗鬆症、骨減少症、ゴーラム症候群、塩素チャネル病(例えば、先天性筋強直症(トムソン型およびベッカー型)、パーター症候群III型、デント病、癲癇、驚愕過剰症、リソソーム蓄積症、アンジェルマン症候群、および原発性線毛ジスキネジア(PCD)など)、線毛の構造および/または機能の遺伝性障害を示す用語(内蔵逆位を伴うPCD(カルタゲナー症候群としても公知)、内蔵逆位を伴わないPCD、および毛様体無形成を含む)から選択される、項目22に記載の方法。

(項目24)

前記CFTR媒介疾患は、嚢胞性線維症、COPD、気腫、眼乾燥疾患または骨粗鬆症である、項目23に記載の方法。

(項目25)

前記CFTR媒介疾患は嚢胞性線維症である、項目24に記載の方法。

(項目26)

前記患者が

CFTR

開閉変異を有する、項目 2 5 に記載の方法。

(項目 2 7)

前記

CFTR

開閉変異が、G 5 5 1 D、G 1 7 8 R、G 5 5 1 S、G 9 7 0 R、G 1 2 4 4 E、S 1 2 5 5 P、G 1 3 4 9 D、S 5 4 9 N、S 5 4 9 R、および S 1 2 5 1 N から選択される、項目 2 6 に記載の方法。

(項目 2 8)

前記

CFTR

開閉変異が少なくとも 1 個の対立遺伝子にある、項目 2 6 に記載の方法。

(項目 2 9)

前記

CFTR

開閉変異が両方の対立遺伝子にある、項目 2 6 に記載の方法。

(項目 3 0)

前記患者は、ヒト嚢胞性線維症膜貫通型制御因子遺伝子

(CFTR)

の以下の変異： F 5 0 8 および R 1 1 7 H のうちの一方または両方を有する、項目 2 5 に記載の方法。

(項目 3 1)

前記患者は 2 歳 ~ 5 歳である、項目 2 2 ~ 3 0 のいずれか 1 項に記載の方法。

(項目 3 2)

前記患者は 0 歳 ~ 2 歳である、項目 2 2 ~ 3 0 のいずれか 1 項に記載の方法。

(項目 3 3)

前記患者は体重が約 1 4 キログラムであるかまたは約 1 4 キログラムより重い、項目 2 2 ~ 3 0 のいずれか 1 項に記載の方法。

(項目 3 4)

前記患者は体重が 1 4 キログラム未満である、項目 2 2 ~ 3 0 のいずれか 1 項に記載の方法。