【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6年5月23日(2024.5.23)

【国際公開番号】ＷＯ2021/228987
【公表番号】特表2023-525790(P2023-525790A)
【公表日】令和5年6月19日(2023.6.19)
【年通号数】公開公報(特許)2023-113
【出願番号】特願2022-568518(P2022-568518)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ 39/395(2006.01)
Ａ６１Ｐ 9/00(2006.01)
Ａ６１Ｐ 25/02(2006.01)
Ａ６１Ｐ 39/02(2006.01)
Ａ６１Ｐ 43/00(2006.01)
Ａ６１Ｋ 45/00(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/423(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/603(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/415(2006.01)
Ｃ０７Ｋ 16/18(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/13(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ 39/395 Ｎ
Ａ６１Ｐ 9/00 ＺＮＡ
Ａ６１Ｐ 25/02
Ａ６１Ｐ 39/02
Ａ６１Ｋ 39/395 Ｄ
Ａ６１Ｐ 43/00 １２１
Ａ６１Ｋ 45/00
Ａ６１Ｋ 31/423
Ａ６１Ｋ 31/603
Ａ６１Ｋ 31/415
Ｃ０７Ｋ 16/18
Ｃ１２Ｎ 15/13

【手続補正書】
【提出日】令和6年5月10日(2024.5.10)
【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】
抗トランスサイレチン（ＴＴＲ）抗体およびＴＴＲ四量体安定化剤またはＴＴＲサイレンサーを含む、トランスサイレチンアミロイドーシス（ＡＴＴＲ）を治療する方法における使用のための医薬品であって、前記抗体が、活性Fcドメインを有し、抗体依存性細胞貪食（ＡＤＣＰ）を介してＡＴＴＲ繊維のクリアランスを誘導可能である、医薬品。
【請求項２】
抗体がIgG1クラスまたはIgG1アイソタイプである、請求項１に記載の医薬品。

【請求項３】
抗体がヒト由来抗体である、請求項１または２に記載の医薬品。
【請求項４】
抗体が、アミノ酸配列WEPFA(配列番号：７)を含むTTRエピトープに結合可能であり、抗体がその可変領域または結合ドメインに以下を含む、請求項１から３のいずれか１項に記載の医薬品：
(i）以下から選択されるVHおよびVL可変領域の6つのCDR
VH-CDR1：配列番号：２の31-35番目
VH-CDR2：配列番号：２の52-67番目
VH-CDR3：配列番号：２の100-109番目
VL-CDR1：配列番号：４の24-34番目
VL-CDR2：配列番号：４の50-56番目
VL-CDR3：配列番号：４の89-97番目、
もしくはCDRの１以上が１または２のアミノ酸置換を含む；
VH-CDR1：配列番号：６の31-35番目
VH-CDR2：配列番号：６の52-67番目
VH-CDR3：配列番号：６の100-109番目
VL-CDR1：配列番号：４の24-34番目
VL-CDR2：配列番号：４の50-56番目
VL-CDR3：配列番号：４の89-97番目、
もしくはCDRの１以上が１または２のアミノ酸置換を含む；または
(ii)配列番号：２もしくは配列番号：６と少なくとも90%の同一性を有するアミノ酸配列を含むVH鎖、および配列番号：４と少なくとも90%同一のアミノ酸配列を含むVL鎖。
【請求項５】
抗体が、その可変領域もしくは結合ドメインに、配列番号：２および配列番号：４の、または配列番号：６および配列番号：４のVH鎖およびVL鎖のアミノ酸配列を含む、請求項１から４のいずれか１項に記載の医薬品。
【請求項６】
安定化剤が、タファミジス、ジフルニサル、AG10、またはこれらの組み合わせである、請求項１から５のいずれか１項に記載の医薬品。
【請求項７】
安定剤がタファミジスである、請求項１から５のいずれか１項に記載の医薬品。
【請求項８】
抗TTR抗体が、1、3、10、30もしくは60mg/kgまたはその間の用量で2～4週間ごとに投与されるように設計され、かつTTR四量体安定化剤が、臨床的に活性な濃度で投与されるように設計される、請求項１から７のいずれか１項に記載の医薬品。
【請求項９】
安定化剤が、タファミジスまたはタファミジスメグルミンであり、1、5、15、30mg/kg/日またはそれらの間の用量で投与するよう設計される、請求項８に記載の医薬品。
【請求項１０】
タファミジスメグルミンが20または80mg/日の用量で投与されるように設計され、かつタファミジスが12.2または61mg/日の用量で投与されるように設計される、請求項９に記載の医薬品。
【請求項１１】
安定化剤が、AG10であり、50、150、300、400もしくは800mgまたはそれらの間の用量で投与するように設計される、請求項８に記載の医薬品。
【請求項１２】
AG10が、１日２回投与されるように設計される、請求項１１に記載の医薬品。
【請求項１３】
安定剤が、ジフルニサルであり、250mgの用量で投与するように設計される、請求項

８に記載の医薬品。
【請求項１４】
ジフルニサルが、１日２回投与されるように設計される、請求項１３に記載の医薬品。
【請求項１５】
ＴＴＲサイレンサーが、アンチセンスオリゴヌクレオチドまたはｓｉＲＮＡである、請求項１～１４のいずれか１項に記載の医薬品。
【請求項１６】
アンチセンスオリゴヌクレオチドがイノテルセンである、請求項１５に記載の医薬品。
【請求項１７】
ｓｉＲＮＡがパティシランである、請求項１５に記載の医薬品。
【請求項１８】
抗ＴＴＲ抗体が、安定化剤またはサイレンサーと同時、前、もしくは後に投与されるように設計される、請求項１から１７のいずれか１項に記載の医薬品。
【請求項１９】
抗体および安定化剤が、別々の容器にパッケージされて存在する、請求項１から１８のいずれか１項に記載の医薬品。
【請求項２０】
抗体が輸液ボトルもしくは輸液バッグ中の液体製剤として存在し、および/または、安定剤が経口投与のために設計された錠剤もしくはカプセル中に存在する、請求項１９に記載の医薬品。
【請求項２１】
請求項１９または２０に記載の医薬品を含む、一式のキット。
【請求項２２】
請求項１～２０のいずれか１項に記載の抗ＴＴＲ抗体であって、ＴＴＲ四量体安定化剤またはＴＴＲサイレンサーによる治療を受ける対象におけるＡＴＴＲの治療における使用のための、抗ＴＴＲ抗体。
【請求項２３】
抗体および安定化剤またはサイレンサーが、同時に、順次にまたは引き続いて投与されるように設計される、請求項２２に記載の抗ＴＴＲ抗体。
【請求項２４】
ＡＴＴＲが野生型ＡＴＴＲ（ｗｔＡＴＴＲ）もしくは変異型ＡＴＴＲ（ｖＡＴＴＲ）であり、ＡＴＴＲがＡＴＴＲポリニューロパチー、ＡＴＴＲ心筋症、家族性アミロイドポリニューロパチー（ＦＡＰ）、老人性全身性アミロイドーシス（ＳＳＡ）、全身性家族性アミロイドーシス、髄膜/中枢神経系（ＣＮＳ）アミロイドーシス、ＴＴＲ関連眼アミロイドーシス、ＴＴＲ関連腎アミロイドーシス、ＴＴＲ関連高チロキシン血症、および手根管症候群、腱板断裂、腰部脊柱管狭窄症を含むＴＴＲ関連靭帯アミロイドーシス、ならびに子癇前症からなる群より選ばれる疾患もしくは状態に関連する、請求項１から２０のいずれか１項に記載の医薬品。