

【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4月3日(2023.4.3)

【国際公開番号】WO2020/201038

【公表番号】特表2022-526367(P2022-526367A)

【公表日】令和4年5月24日(2022.5.24)

【年通号数】公開公報(特許)2022-091

【出願番号】特願2021-557778(P2021-557778)

【国際特許分類】

A 61K 38/16(2006.01)

A 61K 9/72(2006.01)

A 61P 11/00(2006.01)

A 61P 37/08(2006.01)

A 61P 11/06(2006.01)

A 61P 11/02(2006.01)

A 61P 27/02(2006.01)

A 61P 43/00(2006.01)

A 61P 31/04(2006.01)

A 61P 35/00(2006.01)

10

A 61P 7/06(2006.01)

A 61P 29/00(2006.01)

A 61P 9/00(2006.01)

A 61P 25/28(2006.01)

A 61P 17/04(2006.01)

A 61K 47/22(2006.01)

A 61K 9/14(2006.01)

A 61K 9/08(2006.01)

A 61K 38/00(2006.01)

C 12N 15/12(2006.01)

20

C 07K 14/435(2006.01)

30

【F I】

A 61K 38/16 Z N A

A 61K 9/72

A 61P 11/00

A 61P 37/08

A 61P 11/06

A 61P 11/02

A 61P 27/02

A 61P 43/00 105

40

A 61P 31/04

A 61P 35/00

A 61P 7/06

A 61P 29/00

A 61P 9/00

A 61P 25/28

A 61P 17/04

A 61K 47/22

A 61K 9/14

A 61K 9/08

50

A 6 1 K 38/00
 C 1 2 N 15/12
 C 0 7 K 14/435

【手続補正書】

【提出日】令和5年3月24日(2023.3.24)

【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

10

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

対象の治療法における使用のための、リポカリンムテインを含む医薬であって、リポカリンムテインが吸入によって投与されるように用いられることを特徴とし、該投与が、気道における該リポカリンムテインへの局所曝露をもたらす、医薬。

【請求項2】

(a) リポカリンムテインの送達用量の約0.15%もしくはそれ未満が循環系に入る、または
 (b) リポカリンムテインの全身曝露が検出不可能である

ように用いられることを特徴とする、請求項1記載の医薬。

20

【請求項3】

リポカリンムテインの送達用量が、投与1回につき約0.1mg～約1000mg、または投与1回につき体重1kg当たり約0.05μg～約15mgであるように用いられることを特徴とする、請求項1または2記載の医薬。

【請求項4】

リポカリンムテインの送達用量が、投与1回につき約0.1mg～約5mg、または投与1回につき体重1kg当たり約0.05μg～約50μgであるように用いられることを特徴とする、請求項1～3のいずれか一項記載の医薬。

【請求項5】

気道の疾患の治療用である、請求項1～4のいずれか一項記載の医薬。

30

【請求項6】

気道の疾患が、アレルギー性炎症、アレルギー性喘息、鼻炎、結膜炎、肺線維症、囊胞線維症、慢性閉塞性肺疾患、肺胞タンパク症、成人呼吸窮迫症候群、または細菌感染症である、請求項5記載の医薬。

【請求項7】

対象の治療法における使用のための、リポカリンムテインを含む医薬であって、リポカリンムテインが吸入によって投与されるように用いられることを特徴とし、該投与が、該リポカリンムテインの全身曝露をもたらす、医薬。

【請求項8】

(a) リポカリンムテインの送達用量の約0.3%もしくはそれより多く、約0.4%もしくはそれより多く、約0.5%もしくはそれより多く、約0.6%もしくはそれより多く、約0.7%もしくはそれより多く、約0.8%もしくはそれより多く、約0.9%もしくはそれより多く、約1%もしくはそれより多く、約2%もしくはそれより多く、約3%もしくはそれより多く、約4%もしくはそれより多く、約5%もしくはそれより多く、約6%もしくはそれより多く、約7%もしくはそれより多く、約8%もしくはそれより多く、約9%もしくはそれより多く、約10%もしくはそれより多く、約11%もしくはそれより多く、約12%もしくはそれより多く、約13%もしくはそれより多く、約14%もしくはそれより多く、または約15%もしくはそれより多くが循環系に入る、

(b) 血漿中リポカリンムテインの最大濃度が、投与後約0.5時間～約10時間の時点で、もしくは投与後約0.5時間～約4時間の時点で実現される、または

50

(c) 血漿中リポカリンムテインの最大濃度が、約 $1\text{ng}/\text{mL}$ もしくはそれより高く、または約 $1\text{ng}/\text{mL}$ ～約 $2,000\text{ng}/\text{mL}$ である。

請求項7記載の医薬。

【請求項9】

リポカリンムテインが、投与1回につき約 0.05mg ～約 1000mg または投与1回につき体重 1kg 当たり約 $0.1\mu\text{g}$ ～約 15mg の送達用量で投与されるように用いられることを特徴とする、請求項7または8記載の医薬。

【請求項10】

リポカリンムテインが、投与1回につき約 5mg ～約 1000mg または投与1回につき体重 1kg 当たり約 0.1mg ～約 15mg の送達用量で投与されるように用いられることを特徴とする、請求項7～9のいずれか一項記載の医薬。

10

【請求項11】

(a) リポカリンムテインの、ある期間にわたる血清中濃度の曲線下面積(AUC_{inf})が、約 $10\text{h}^*\text{ng}/\text{mL}$ もしくはそれより大きく、または約 $10\text{h}^*\text{ng}/\text{mL}$ ～約 $16,000\text{h}^*\text{ng}/\text{mL}$ である。

(b) リポカリンムテインが、約2時間～約10時間の血清半減期($t_{1/2}$)を有する、または

(c) リポカリンムテインへの全身曝露が、同じまたは同程度の生体利用可能量のリポカリンムテインの全身投与と比べて改善された治療効果をもたらす

ように用いられることを特徴とする、請求項7～10のいずれか一項記載の医薬。

20

【請求項12】

気道の疾患の治療用である、請求項7～11のいずれか一項記載の医薬。

【請求項13】

気道の疾患が、アレルギー性炎症、アレルギー性喘息、鼻炎、結膜炎、肺線維症、囊胞性線維症、慢性閉塞性肺疾患、肺胞タンパク症、成人呼吸窮迫症候群、または細菌感染症である、請求項12記載の医薬。

【請求項14】

(a) 全身性疾患の治療用である、または

(b) 気道の疾患以外の、器官もしくは組織を冒す疾患の治療用である、

請求項7～11のいずれか一項記載の医薬。

30

【請求項15】

癌、貧血、疼痛性障害、炎症性疾患、心血管疾患、神経変性疾患、アレルギー性疾患、例えば、鼻炎、結膜炎、皮膚炎、もしくは食物アレルギー、または細菌感染症、例えば緑膿菌(*Pseudomonas aeruginosa*)感染症の治療用である、請求項7～11および14のいずれか一項記載の医薬。

【請求項16】

(a) リポカリンムテインの効果の発現が、リポカリンムテインが皮下投与された場合の発現よりも速い、

(b) リポカリンムテインの効果の発現が、リポカリンムテインが全身投与された場合の発現とほぼ同じ速さであるかもしくはそれよりも速い、または

(c) FDKPと組み合わせたりポカリンムテインの効果の発現が、リポカリンムテインが吸入によって単独で投与された場合の発現とほぼ同じ速さであるかもしくはそれよりも速い、

40

請求項7～15のいずれか一項記載の医薬。

【請求項17】

投与が、1回、週に1回、週に2回、週に3回、週に4回、週に5回、週に6回、1日に1回、または1日に2回である、請求項1～16のいずれか一項記載の医薬。

【請求項18】

(a) リポカリンムテインが噴霧形態で投与される、

(b) リポカリンムテインが乾燥粉末として投与される、または

(c) リポカリンムテインが液状スプレーとして投与される

50

ように用いられることを特徴とする、請求項1～17のいずれか一項記載の医薬。

【請求項19】

対象がヒト対象である、請求項1～18のいずれか一項記載の医薬。

【請求項20】

リポカリンムテインがヒト涙液リポカリン(hTlc)またはヒト好中球ゼラチナーゼ関連リポカリン(hNGAL)のムテインである、請求項1～19のいずれか一項記載の医薬。

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0040

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0040】

用語「約(about)」または「約(approximately)」は、本明細書において使用される場合、所与の値または範囲から20%以内、好ましくは10%以内、およびより好ましくは5%以内を意味する。しかし、この用語は、実際の値もまた含み、例えば「約20」は20を含む。

[本発明1001]

対象にリポカリンムテインを投与する方法であって、吸入によってリポカリンムテインを投与する段階を含み、該投与が、気道における該リポカリンムテインへの局所曝露をもたらす、方法。

[本発明1002]

対象の治療法における使用のためのリポカリンムテインであって、該使用が、吸入によってリポカリンムテインを投与することを含み、該投与が、気道における該リポカリンムテインへの局所曝露をもたらす、使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1003]

リポカリンムテインの送達用量の約0.15%またはそれ未満が循環系に入る、本発明1001または1002の、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1004]

リポカリンムテインの全身曝露が検出不可能である、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1005]

血液中への吸収によって全身曝露が定義される、本発明1004の、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1006]

リポカリンムテインの送達用量が、投与1回につき約0.1mg～約1000mg、または投与1回につき体重1kg当たり約0.05μg～約15mgである、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1007]

リポカリンムテインの送達用量が、投与1回につき約0.1mg～約5mg、または投与1回につき体重1kg当たり約0.05μg～約50μgである、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1008]

前記方法または使用が、気道の疾患を治療するためである、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1009]

気道の疾患が、アレルギー性炎症、アレルギー性喘息、鼻炎、結膜炎、肺線維症、囊胞性線維症、慢性閉塞性肺疾患、肺胞タンパク症、成人呼吸窮迫症候群、または細菌感染症である、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1010]

対象にリポカリンムテインを投与する方法であって、吸入によってリポカリンムテイン

10

20

30

40

50

を投与する段階を含み、該投与が、該リポカリンムテインの全身曝露をもたらす、方法。

[本発明1011]

対象の治療法における使用のためのリポカリンムテインであって、該使用が、吸入によってリポカリンムテインを投与することを含み、該投与が、該リポカリンムテインの全身曝露をもたらす、使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1012]

リポカリンムテインの送達用量の約0.3%もしくはそれより多く、約0.4%もしくはそれより多く、約0.5%もしくはそれより多く、約0.6%もしくはそれより多く、約0.7%もしくはそれより多く、約0.8%もしくはそれより多く、約0.9%もしくはそれより多く、約1%もしくはそれより多く、約2%もしくはそれより多く、約3%もしくはそれより多く、約4%もしくはそれより多く、約5%もしくはそれより多く、約6%もしくはそれより多く、約7%もしくはそれより多く、約8%もしくはそれより多く、約9%もしくはそれより多く、約10%もしくはそれより多く、約11%もしくはそれより多く、約12%もしくはそれより多く、約13%もしくはそれより多く、約14%もしくはそれより多く、または約15%もしくはそれより多くが循環系に入る、本発明1010または1011の、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

10

[本発明1013]

血漿中リポカリンムテインの最大濃度が、投与後約0.5時間～約10時間の時点で、好ましくは投与後約0.5時間～約4時間の時点で実現される、本発明1010～1012のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

20

[本発明1014]

血漿中リポカリンムテインの最大濃度が、約1ng/mLもしくはそれより高く、好ましくは約1ng/mL～約2,000ng/mLである、本発明1010～1013のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1015]

リポカリンムテインが、投与1回につき約0.05mg～約1000mgまたは投与1回につき体重1kg当たり約0.1μg～約15mgの送達用量で投与される、本発明1010～1014のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

30

[本発明1016]

リポカリンムテインが、投与1回につき約5mg～約1000mgまたは投与1回につき体重1kg当たり約0.1mg～約15mgの送達用量で投与される、本発明1010～1015のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1017]

リポカリンムテインの、ある期間にわたる血清中濃度の曲線下面積(AUC_{inf})が、約10h*ng/mLもしくはそれより大きく、例えば約10h*ng/mL～約16,000h*ng/mLである、本発明1010～1016のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1018]

リポカリンムテインが、約2時間～約10時間の血清半減期(t_{1/2})を有する、本発明1010～1017のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

40

[本発明1019]

リポカリンムテインへの全身曝露が、同じまたは同程度の生体利用可能量のリポカリンムテインの全身投与と比べて改善された治療効果をもたらす、本発明1010～1018のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1020]

前記方法または使用が、気道の疾患を治療するためである、本発明1010～1019のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1021]

気道の疾患が、アレルギー性炎症、アレルギー性喘息、鼻炎、結膜炎、肺線維症、囊胞性線維症、慢性閉塞性肺疾患、肺胞タンパク症、成人呼吸窮迫症候群、または細菌感染症

50

である、本発明1010～1020のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1022]

前記方法または使用が、全身性疾患を治療するためである、本発明1010～1019のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1023]

前記方法または使用が、気道の疾患以外の、器官または組織を冒す疾患を治療するためである、本発明1010～1019のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1024]

前記方法または使用が、癌、貧血、疼痛性障害、炎症性疾患、心血管疾患、神経変性疾患、アレルギー性疾患、例えば、鼻炎、結膜炎、皮膚炎、もしくは食物アレルギー、または細菌感染症、例えば緑膿菌(*Pseudomonas aeruginosa*)感染症を治療するためである、本発明1010～1019、1022、および1023のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1025]

リポカリンムテインの効果の発現が、リポカリンムテインが皮下投与された場合の発現よりも速い、本発明1010～1024のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1026]

リポカリンムテインの効果の発現が、リポカリンムテインが全身投与された場合の発現とほぼ同じ速さであるかまたはそれよりも速い、本発明1010～1024のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1027]

FDKPと組み合わせたリポカリンムテインの効果の発現が、リポカリンムテインが吸入によって単独で投与された場合の発現とほぼ同じ速さであるかまたはそれよりも速い、本発明1010～1024のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1028]

投与が、1回、週に1回、週に2回、週に3回、週に4回、週に5回、週に6回、1日に1回、1日に2回である、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1029]

リポカリンムテインが噴霧形態で投与される、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1030]

リポカリンムテインが乾燥粉末として投与される、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1031]

リポカリンムテインが液状スプレーとして投与される、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1032]

リポカリンムテインがヒト対象に投与される、前記本発明のいずれかの、方法、または使用のためのリポカリンムテイン。

[本発明1033]

リポカリンムテインがヒト涙液リポカリン(hTlc)またはヒト好中球ゼラチナーゼ関連リポカリン(hNGAL)のムテインである、前記本発明のいずれかの方法、または使用のための組成物。

10

20

30

40

50