

【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8月22日(2024.8.22)

【公開番号】特開2024-69192(P2024-69192A)  
【公開日】令和6年5月21日(2024.5.21)  
【年通号数】公開公報(特許)2024-092  
【出願番号】特願2024-15822(P2024-15822)  
【国際特許分類】

A 6 1 K 31/519(2006.01)

10

A 6 1 P 43/00(2006.01)

【FI】

A 6 1 K 31/519

A 6 1 P 43/00 1 1 1

【手続補正書】

【提出日】令和6年8月13日(2024.8.13)

【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

20

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

それを必要とする対象におけるBH4関連疾患の治療に使用するためのセピアプテリン又はその薬学的に許容される塩を含む組成物であって、前記治療は有効量のセピアプテリン又はその薬学的に許容される塩を食品を伴わずに前記対象に投与する工程を含む、組成物。

【請求項2】

前記有効量が、投与1時間以内に対象の血漿中に少なくとも0.5 ng/mlの濃度を生成するのに十分な量である、請求項1に記載の使用のための組成物。

30

【請求項3】

前記有効量が、セピアプテリン又はその薬学的に許容される塩を食品と共に投与後1時間以内に対象の血漿中に少なくとも0.5 ng/mlの最大血漿中濃度(Cmax)を生成するのに十分な投与量よりも少なくとも20%未満の投与量を含む、請求項2に記載の使用のための組成物。

【請求項4】

前記有効量が、投与1回あたり2.5mg/kg～100mg/kgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の使用のための組成物。

【請求項5】

40

前記対象への前記投与が、食品を摂取する30分超前又は2時間超後に行われる、請求項1～4のいずれか1項に記載の使用のための組成物。

【請求項6】

前記対象への前記投与が、食品を摂取する30分超前又は4時間超後に行われる、請求項5に記載の使用のための組成物。

【請求項7】

前記有効量が、食品を伴う投与の場合と比較して、セピアプテリン又はその薬学的に許容される塩の最大血漿中、CSF中、及び/又は脳内濃度(Cmax)の増加をもたらす、請求項1～6のいずれか1項の使用のための組成物。

【請求項8】

50

前記BH4関連疾患がフェニルケトン尿症又はBH4欠損症である、請求項1～7のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項9】

前記BH4関連疾患がフェニルケトン尿症である、請求項8に記載の使用のための組成物。

【請求項10】

前記BH4関連疾患がBH4欠損症である、請求項9に記載の使用のための組成物。

【請求項11】

前記BH4関連疾患がプライマリーBH4欠損症である、請求項10に記載の使用のための組成物。

10

20

30

40

50