

【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 3 年 4 月 22 日 (2021.4.22)

【公表番号】特表 2020-510016 (P2020-510016A)

【公表日】令和 2 年 4 月 2 日 (2020.4.2)

【年通号数】公開・登録公報 2020-013

【出願番号】特願 2019-548450 (P2019-548450)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/4985 (2006.01)

A 6 1 P 1/04 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/4985

A 6 1 P 1/04

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 3 月 8 日 (2021.3.8)

【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】

4.5 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、1 2 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、1.5 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与され、それにより臨床的寛解が達成され、該臨床的寛解は、液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数が 2.8 未満でありかつベースラインを超えないこと、並びに 1 日の平均腹痛回数が 1.0 未満でありかつベースラインを超えないことである、医薬組成物。

【請求項 2】

4.5 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための医薬組成物であって、患者に 1 日 1 回、1 2 週間、経口投与され、それにより 1 2 週目には臨床的寛解が達成され、該臨床的寛解は、液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数が 2.8 未満でありかつベースラインを超えないこと、並びに 1 日の平均腹痛回数が 1.0 未満でありかつベースラインを超えないことである、医薬組成物。

【請求項 3】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の臨床的寛解をさらに維持するための、請求項 2 に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、1.5 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項 4】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の臨床的寛解をさらに維持するための、請求項 2 に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、3.0 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項 5】

4 5 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、1 2 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、1 5 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与され、それにより臨床的応答が達成され、該臨床的応答は、(i) 液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数スコアのベースラインから 3 0 % を超える減少及びベースラインを超えない 1 日の平均腹痛スコア減少又は (ii) 1 日の平均腹痛スコアのベースラインから 3 0 % を超える減少及びベースラインを超えない液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便スコアである、医薬組成物。

【請求項 6】

強化された臨床的応答を達成する請求項 5 に記載の医薬組成物であって、該強化された臨床的応答が、液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数スコアの 6 0 % を超える減少及び / 又は 1 日の平均腹痛スコアの 3 5 % を超える減少であり、液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数及び 1 日の平均腹痛スコアの両方がベースラインを超えない、医薬組成物。

【請求項 7】

4 5 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための医薬組成物であって、患者に 1 日 1 回、1 2 週間、経口投与され、それにより 1 2 週目には臨床的応答が達成され、該臨床的応答は、(i) 液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数スコアのベースラインから 3 0 % を超える減少及びベースラインを超えない 1 日の平均腹痛スコア減少又は (ii) 1 日の平均腹痛スコアのベースラインから 3 0 % を超える減少及びベースラインを超えない液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便スコアである、医薬組成物。

【請求項 8】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の臨床的応答をさらに維持するための、請求項 7 に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、1 5 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項 9】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の臨床的応答をさらに維持するための、請求項 7 に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、3 0 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項 1 0】

4 5 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、1 2 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、1 5 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与され、それにより内視鏡的寛解が達成され、該内視鏡的寛解は、クローン病のための簡略化された内視鏡スコア (S E S - C D) が 4 未満であり及びベースラインに対して S E S - C D の少なくとも 2 ポイントの減少、及び潰瘍のサイズ、潰瘍化表面、影響を受けた表面及び狭窄の存在からなる群から選択される S E S - C D スコアを算出するために使用された任意の変数において > 1 のサブスコアがないことである、医薬組成物。

【請求項 1 1】

4 5 m g のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための医薬組成物であって、患者に 1 日 1 回、1 2 週間、経口投与され、それにより 1 2 週目には内視鏡的寛解が達成され、該内視鏡的寛解は、クローン病のための簡略化され

た内視鏡スコア（SES - CD）が4未満であり及びベースラインに対してSES - CDの少なくとも2ポイントの減少、及び潰瘍のサイズ、潰瘍化表面、影響を受けた表面及び狭窄の存在からなる群から選択されるSES - CDスコアを算出するために使用された任意の変数において> 1のサブスコアがないことである、医薬組成物。

【請求項12】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の内視鏡的寛解をさらに維持するための、請求項11に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、15mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に1日1回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項13】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の内視鏡的寛解をさらに維持するための、請求項11に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、30mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に1日1回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項14】

45mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に1日1回、12週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、15mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に1日1回、経口投与され、それにより内視鏡的応答が達成され、該内視鏡的応答は、(i)クローン病のための簡略化された内視鏡スコア（SES - CD）のベースラインからの50%を超える減少又は(ii)ベースラインで4のSES - CDを有していた患者については少なくとも2ポイントの減少である、医薬組成物。

【請求項15】

45mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための医薬組成物であって、患者に1日1回、12週間、経口投与され、それにより12週目には内視鏡的応答が達成され、該内視鏡的応答は、(i)クローン病のための簡略化された内視鏡スコア（SES - CD）のベースラインからの50%を超える減少又は(ii)ベースラインで4のSES - CDを有していた患者については少なくとも2ポイントの減少である、医薬組成物。

【請求項16】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の内視鏡的応答をさらに維持するための、請求項15に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、15mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に経口投与される、医薬組成物。

【請求項17】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の内視鏡的応答をさらに維持するための、請求項15に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、30mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に経口投与される、医薬組成物。

【請求項18】

45mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に1日1回、12週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、30mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に1日1回、経口投与され、それにより臨床的寛解が達成され、該臨床的寛解は、液状便/非常に軟らかい便の1日の平均排便回数が2.8未満でありかつベースラインを超えないこと、並びに1日の平均腹痛回数が1.0未満でありかつベースラ

インを超えないことである、医薬組成物。

【請求項 19】

45 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、12 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、30 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与され、それにより臨床的応答が達成され、該臨床的応答は、(i) 液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数スコアのベースラインから 30 % を超える減少及びベースラインを超えない 1 日の平均腹痛スコア減少又は (ii) 1 日の平均腹痛スコアのベースラインから 30 % を超える減少及びベースラインを超えない液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便スコアである、医薬組成物。

【請求項 20】

45 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、少なくとも 12 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、30 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与され、それにより内視鏡的寛解が達成され、該内視鏡的寛解は、クローン病のための簡略化された内視鏡スコア (SES - CD) が 4 未満であり及びベースラインに対して SES - CD の少なくとも 2 ポイントの減少、及び潰瘍のサイズ、潰瘍化表面、影響を受けた表面及び狭窄の存在からなる群から選択される SES - CD スコアを算出するために使用された任意の変数において > 1 のサブスコアがないことである、医薬組成物。

【請求項 21】

45 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、12 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、30 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与され、それにより内視鏡的応答が達成され、該内視鏡的応答は、(i) クローン病のための簡略化された内視鏡スコア (SES - CD) のベースラインからの 50 % を超える減少又は (ii) ベースラインで 4 の SES - CD を有していた患者については少なくとも 2 ポイントの減少である、医薬組成物。

【請求項 22】

45 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、12 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、15 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に 1 日 1 回、経口投与され、それにより臨床的寛解及び内視鏡的応答が達成され、

該臨床的寛解は、液状便 / 非常に軟らかい便の 1 日の平均排便回数が 2.8 未満でありかつベースラインを超えないこと、並びに 1 日の平均腹痛回数が 1.0 未満でありかつベースラインを超えないことであり、

該内視鏡的応答は、(i) クローン病のための簡略化された内視鏡スコア (SES - CD) のベースラインからの 50 % を超える減少又は (ii) ベースラインで 4 の SES - CD を有していた患者については少なくとも 2 ポイントの減少である、医薬組成物。

【請求項 23】

45 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための、患者に 1 日 1 回、12 週間、経口投与される医薬組成物であって、その投与後、30 mg のウパダシチニブの遊離塩基当量が送達されるに十分な量のウパダシチニブ又は

その固体形態が患者に1日1回、経口投与され、それにより臨床的寛解及び内視鏡的応答が達成され、

該臨床的寛解は、液状便/非常に軟らかい便の1日の平均排便回数が2.8未満でありかつベースラインを超えないこと、並びに1日の平均腹痛回数が1.0未満でありかつベースラインを超えないことであり、

該内視鏡的応答は、(i)クローン病のための簡略化された内視鏡スコア(SES-CD)のベースラインからの50%を超える減少又は(ii)ベースラインで4のSES-CDを有していた患者については少なくとも2ポイントの減少である、医薬組成物。

【請求項24】

45mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態を含む、成人患者における中程度から重症の活動性クローン病を治療するための医薬組成物であって、患者に1日1回、12週間、経口投与され、それにより12週目には臨床的寛解及び内視鏡的応答が達成され、

該臨床的寛解は、液状便/非常に軟らかい便の1日の平均排便回数が2.8未満でありかつベースラインを超えないこと、並びに1日の平均腹痛回数が1.0未満でありかつベースラインを超えないことであり、

該内視鏡的応答は、(i)クローン病のための簡略化された内視鏡スコア(SES-CD)のベースラインからの50%を超える減少又は(ii)ベースラインで4のSES-CDを有していた患者については少なくとも2ポイントの減少である、医薬組成物。

【請求項25】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の臨床的寛解及び内視鏡的応答をさらに維持するための、請求項24に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、15mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に1日1回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項26】

成人患者における中程度から重症の活動性クローン病の臨床的寛解及び内視鏡的応答をさらに維持するための、請求項24に記載の医薬組成物であって、該医薬組成物の投与後、30mgのウパダシチニブの遊離塩基当量を送達されるに十分な量のウパダシチニブ又はその固体形態が患者に1日1回、経口投与される、医薬組成物。

【請求項27】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤(immunodulator)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項28】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤(immunodulator)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項2に記載の医薬組成物。

【請求項29】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤(immunodulator)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項5に記載の医薬組成物。

【請求項30】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤(immunodulator)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項7に記載の医薬組成物。

【請求項31】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤(immunodulator)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項10に記載の医薬組成物。

【請求項32】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 1 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3 3】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 1 4 に記載の医薬組成物。

【請求項 3 4】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 1 5 に記載の医薬組成物。

【請求項 3 5】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 1 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 3 6】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 1 9 に記載の医薬組成物。

【請求項 3 7】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 2 0 に記載の医薬組成物。

【請求項 3 8】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 2 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3 9】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 2 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 4 0】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 2 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 4 1】

患者がコルチコステロイド、免疫調節剤 (i m m u n o d u l a t o r)、又は生物学的治療に不十分な応答を有していたことがある、又は不耐性であった患者である、請求項 2 4 に記載の医薬組成物。