

【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】

4.5mg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、1.5mg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】

4.5mg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、12週間、経口投与され、それにより12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、1.5mg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、3.0mg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5】

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60 %を超える減少及び／又は1日の平均腹痛スコアの35 %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】

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、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、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、経口投与される、医薬組成物。

#### 【請求項10】

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11】

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14】

45mg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、15mg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（S E S - C D）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S E S - C D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、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（S E S - C D）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S E S - C D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、30mg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】

45mg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、30mg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】

45mg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、30mg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】

45mg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、30mg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】

45mg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、15mg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】

45mg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、30mg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-C-D)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-C-D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、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-C-D)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-C-D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(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11に記載の医薬組成物。

**【請求項33】**

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14に記載の医薬組成物。

**【請求項34】**

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15に記載の医薬組成物。

**【請求項35】**

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18に記載の医薬組成物。

**【請求項36】**

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19に記載の医薬組成物。

**【請求項37】**

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20に記載の医薬組成物。

**【請求項38】**

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21に記載の医薬組成物。

**【請求項39】**

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22に記載の医薬組成物。

**【請求項40】**

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23に記載の医薬組成物。

**【請求項41】**

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24に記載の医薬組成物。