

【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】平成29年12月21日(2017.12.21)

【公表番号】特表2016-540746(P2016-540746A)

【公表日】平成28年12月28日(2016.12.28)

【年通号数】公開・登録公報2016-070

【出願番号】特願2016-529936(P2016-529936)

【国際特許分類】

A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/28	(2006.01)
A 6 1 P	37/02	(2006.01)
A 6 1 K	35/16	(2015.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/573	(2006.01)
A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	31/5377	(2006.01)
A 6 1 K	38/55	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	45/00	
A 6 1 P	25/28	
A 6 1 P	37/02	
A 6 1 K	35/16	Z
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 K	31/573	
A 6 1 K	39/395	Y
A 6 1 K	39/395	N
A 6 1 K	31/5377	
A 6 1 K	37/64	

【手続補正書】

【提出日】平成29年11月9日(2017.11.9)

【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】

C 1 - エステラーゼ阻害因子(C 1 - I N H)を含む使用のための組成物であって
(i)方法が積極的なC N S 攻撃の間にC 1 - I N H を投与することを含む、補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるC N S 障害を治療するまたは障害の進行を遅延させる方法；

(i i)方法が積極的なC N S 攻撃の発病時にC 1 - I N H を投与することを含む、補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるC N S 障害を予防するまたは障害の進行を遅延させる方法；にて使用するための組成物であり、

(i)または(i i)の前記障害は視神経脊髄炎(N M O)または視神経脊髄炎スペクトル障害(N M O S D)である、前記使用のための組成物。

【請求項2】

C 1 - I N H がヒト血漿由来のC 1 - I N H (h C 1 - I N H)または組換えC 1 - I

N H (r C 1 - I N H) を含む請求項 1 に記載の使用のための組成物。

【請求項 3】

障害が、視神経脊髄炎 (N M O) または D e v i c 病、脊髄長大病変を有する横断性脊髄炎、両側同時発病性または再発性の視神経炎、アジア型の視神経脊髄型の多発性硬化症、全身性自己免疫疾患に関連する視神経炎、脳の特定の領域、たとえば、視床下部、脳室周囲核及び脳幹における病変に関連する視神経炎または横断性脊髄炎の单相性または再発性の事象、及び N M O - I g G 陰性の N M O : A Q P 4 抗体血清反応陰性の N M O から成る群から選択される 請求項 1 または 2 に記載の使用のための組成物。

【請求項 4】

前記障害が N M O であり、前記 C 1 - エステラーゼ阻害因子がシンライズ (登録商標) 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】

方法が、視神経脊髄炎 (N M O) または D e v i c 病、脊髄長大病変を有する横断性脊髄炎、両側同時発病性または再発性の視神経炎、アジア型の視神経脊髄型の多発性硬化症、全身性自己免疫疾患に関連する視神経炎、脳の特定の領域、たとえば、視床下部、脳室周囲核及び脳幹における病変に関連する視神経炎または横断性脊髄炎の单相性または再発性の事象、及び N M O - I g G 陰性の N M O : A Q P 4 抗体血清反応陰性の N M O から成る群から選択される障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるのに有効な追加の生物学的に活性のある作用剤または治療を投与することを含む、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】

前記治療が静脈内免疫療法であり、前記作用剤が任意で、たとえば、メチルプレドニゾロンのようなグルココルチコイドである 請求項 5 に記載の使用のための組成物。

【請求項 7】

前記作用剤または治療が血漿交換及び / または静脈内免疫グロブリン製剤の投与である 請求項 5 に記載の使用のための組成物。

【請求項 8】

前記組成物が、マイコフェノレート、リツキシマブ及び / またはエクリズマブと組み合わせて投与されることを特徴とする請求項 5 に記載の使用のための組成物。

【請求項 9】

前記組成物及び生物学的に活性のある作用剤または治療が同時にまたは順次に投与されることを特徴とする請求項 5 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の使用のための組成物。

【請求項 10】

前記投与が早期の急性相の間である 請求項 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載の使用のための組成物。

【請求項 11】

前記投与が短期の持続時間である 請求項 1 ~ 10 のいずれか 1 項に記載の使用のための組成物。

【請求項 12】

そのような治療を必要とする患者にて補体免疫系の活性化が原因で生じる障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるための医薬組成物であって、前記組成物が、活性化を阻害する量の C 1 - エステラーゼ阻害因子 (C 1 - I N H) の投与、及び任意で静脈内免疫療法、マイコフェノレート、リツキシマブ及び / またはエクリズマブまたはそれらの組み合わせから成る群から選択される生物学的に活性のある作用剤；及び薬学上許容可能なキャリア媒体を含む、前記医薬組成物。

【請求項 13】

キットであって、
(i) C 1 - エステラーゼ阻害因子 (C 1 - I N H) と
(i i) 視神経脊髄炎 (N M O) または視神経脊髄炎スペクトル障害 (N M O S D) を治療するまたは障害の進行を遅延させるのに有効な追加の生物学的に活性のある作用剤と

含み、

前記成分（i）及び（ii）が患者に同時投与または連續投与するために包装される、前記キット。

【請求項14】

C1-エステラーゼ阻害因子（C1-INH）及び追加の生物学的に活性のある作用剤を含む併用製剤であって、

（i）方法が積極的なCNS攻撃の間にC1-INHを投与することを含む、補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるCNS障害を治療するまたは障害の進行を遅延させる方法；あるいは

（ii）方法が積極的なCNS攻撃の発病時にC1-INHを投与することを含む、補体免疫の活性化を阻害することによって緩和されるCNS障害を予防するまたは障害の進行を遅延させる方法；

にて同時使用するためのまたは逐次使用するための併用製剤であり、

（i）または（ii）の障害が視神経脊髄炎（NMO）または視神経脊髄炎スペクトル障害（NMOSD）であり、前記生物学的に活性のある作用剤が視神経脊髄炎（NMO）または視神経脊髄炎スペクトル障害（NMOSD）障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるのに有効である、併用製剤。

【請求項15】

追加の生物学的に活性のある作用剤が、メチルプレドニゾロンのようなグルココルチコイド、静脈内免疫グロブリン製剤または抗リンパ球製剤、マイコフェノレート、リツキシマブ及び／またはエクリズマブ、またはそれらの組み合わせから成る群から選択される請求項13に記載のキットまたは請求項14に記載の併用製剤。

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0017

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0017】

本発明の範囲内にあるのはまた、そのような治療を必要とする患者にて第2経路の補体免疫系の活性化を阻害することによる緩和によって生じる障害を治療するまたは障害の進行を遅延させる医薬組成物であり、該組成物は、活性化を阻害する量のC1-エステラーゼ阻害因子（C1-INH）と；任意で、静脈内免疫療法、マイコフェノレート、リツキシマブ及び／またはエクリズマブ、またはそれらの組み合わせから成る群から選択される生物学的に活性のある作用剤と、薬学上許容可能なキャリア媒体の投与を含む。

特定の実施形態では、例えば以下が提供される：

（項目1）

C1-エステラーゼ阻害因子（C1-INH）を含む使用のための組成物であって

（i）方法が積極的なCNS攻撃の間にC1-INHを投与することを含む、補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるCNS障害を治療するまたは障害の進行を遅延させる方法；

（ii）方法が積極的なCNS攻撃の発病時にC1-INHを投与することを含む、補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるCNS障害を予防するまたは障害の進行を遅延させる方法；にて使用するための組成物であり、

（i）または（ii）の前記障害は視神経脊髄炎（NMO）または視神経脊髄炎スペクトル障害（NMOSD）である、前記使用のための組成物。

（項目2）

C1-INHがヒト血漿由来のC1-INH（hC1-INH）または組換えC1-INH（rC1-INH）を含む項目1に記載の使用のための組成物。

（項目3）

障害が、視神経脊髄炎（NMO）またはDevic病、脊髄長大病変を有する横断性脊

髓炎、両側同時発病性または再発性の視神経炎、アジア型の視神経脊髄型の多発性硬化症、全身性自己免疫疾患に関連する視神経炎、脳の特定の領域、たとえば、視床下部、脳室周囲核及び脳幹における病変に関連する視神経炎または横断性脊髄炎の単相性または再発性の事象、及びN M O - I g G 陰性のN M O : A Q P 4 抗体血清反応陰性のN M O から成る群から選択される上記項目のいずれか1項に記載の使用のための組成物。

(項目4)

前記障害がN M O であり、前記C 1 - エステラーゼ阻害因子がシンライズ(登録商標)である上記項目のいずれか1項に記載の使用のための組成物。

(項目5)

方法が、視神経脊髄炎(N M O)またはD e v i c 病、脊髄長大病変を有する横断性脊髄炎、両側同時発病性または再発性の視神経炎、アジア型の視神経脊髄型の多発性硬化症、全身性自己免疫疾患に関連する視神経炎、脳の特定の領域、たとえば、視床下部、脳室周囲核及び脳幹における病変に関連する視神経炎または横断性脊髄炎の単相性または再発性の事象、及びN M O - I g G 陰性のN M O : A Q P 4 抗体血清反応陰性のN M O から成る群から選択される障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるのに有効な追加の生物学的に活性のある作用剤または治療を投与することを含む、上記項目のいずれか1項に記載の使用のための組成物。

(項目6)

前記治療が静脈内免疫療法であり、前記作用剤が任意で、たとえば、メチルプレドニゾロンのようなグルココルチコイドである項目5に記載の使用のための組成物。

(項目7)

前記作用剤または治療が血漿交換及び/または静脈内免疫グロブリン製剤の投与である項目5に記載の使用のための組成物。

(項目8)

マイコフェノレート、リツキシマブ及び/またはエクリズマブを投与することを含む項目5に記載の使用のための組成物。

(項目9)

C 1 - I N H 及び生物学的に活性のある作用剤または治療が同時に投与される項目5~8のいずれか1項に記載の使用のための組成物。

(項目10)

C 1 - I N H 及び生物学的に活性のある作用剤または治療が順次投与される項目5~8のいずれか1項に記載の使用のための組成物。

(項目11)

前記投与が早期の急性相の間である上記項目のいずれかに記載の使用のための組成物。

(項目12)

前記投与が短期の持続時間である上記項目のいずれかに記載の使用のための組成物。

(項目13)

そのような治療を必要とする患者にて補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるC N S 障害の治療方法または障害の進行の遅延方法であって、前記方法が積極的なC N S 攻撃の間に治療上有効な量のC 1 - エステラーゼ阻害因子(C 1 - I N H)を投与することを含み、前記障害が視神経脊髄炎(N M O)または視神経脊髄炎スペクトル障害(N M O S D)である、前記方法。

(項目14)

C 1 - エステラーゼ阻害因子(C 1 - I N H)がヒト血漿由来のC 1 - I N H (h C 1 - I N H)または組換えC 1 - I N H (r C 1 - I N H)を含む項目13に記載の方法。

(項目15)

前記障害が、視神経脊髄炎(N M O)またはD e v i c 病、脊髄長大病変を有する横断性脊髄炎、両側同時発病性または再発性の視神経炎、アジア型の視神経脊髄型の多発性硬化症、全身性自己免疫疾患に関連する視神経炎、脳の特定の領域、たとえば、視床下部、脳室周囲核及び脳幹における病変に関連する視神経炎または横断性脊髄炎の単相性または

再発性の事象、及びNMO - IgG陰性のNMO : AQP4抗体血清反応陰性のNMOから成る群から選択される項目13または14に記載の方法。

(項目16)

前記障害がNMOであり、前記C1-エステラーゼ阻害因子がシンライズ(登録商標)である項目13~15のいずれか1項に記載の方法。

(項目17)

視神経脊髄炎(NMO)またはDevic病、脊髄長大病変を有する横断性脊髄炎、両側同時発病性または再発性の視神経炎、アジア型の視神経脊髄型の多発性硬化症、全身性自己免疫疾患に関連する視神経炎、脳の特定の領域、たとえば、視床下部、脳室周囲核及び脳幹における病変に関連する視神経炎または横断性脊髄炎の単相性または再発性の事象、及びNMO - IgG陰性のNMO : AQP4抗体血清反応陰性のNMOから成る群から選択される障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるのに有効な追加の生物学的に活性のある作用剤または治療を投与することを含む項目13~16のいずれか1項に記載の方法。

(項目18)

前記治療が静脈内免疫療法であり、前記作用剤が任意で、たとえば、メチルプレドニゾロンのようなグルココルチコイドである項目17に記載の方法。

(項目19)

前記治療が血漿交換及び/または静脈内免疫グロブリン製剤の投与である項目17に記載の方法。

(項目20)

マイコフェノレート、リツキシマブ及び/またはエクリズマブを投与することを含む項目17に記載の方法。

(項目21)

C1-INH及び生物学的に活性のある作用剤が同時に投与される項目17~20のいずれか1項に記載の方法。

(項目22)

C1-INH及び生物学的に活性のある作用剤が順次投与される項目17~20のいずれか1項に記載の方法。

(項目23)

そのような治療を必要とする患者にて補体免疫系の活性化が原因で生じる障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるための医薬組成物であって、前記組成物が、活性化を阻害する量のC1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)の投与、及び任意で静脈内免疫療法、マイコフェノレート、リツキシマブ及び/またはエクリズマブまたはそれらの組み合わせから成る群から選択される生物学的に活性のある作用剤；及び薬学上許容可能なキャリア媒体を含む、前記医薬組成物。

(項目24)

そのような治療を必要とする患者にて補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるCNS障害を予防するまたは障害の進行を遅延させる方法であって、前記方法が積極的なCNS攻撃の発病時に治療上有効な量のC1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)を投与することを含み、前記障害が視神経脊髄炎(NMO)または視神経脊髄炎スペクトル障害(NMOSD)であり、任意で前記方法が項目14~22のいずれか1項で定義されたとおりである、前記方法。

(項目25)

前記投与が早期急性相の間である項目13または24に記載の方法。

(項目26)

前記投与が短期持続時間である項目13または24に記載の方法。

(項目27)

項目1に記載の使用のためのC1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)を含む組成物であって、CNS障害を治療するまたは障害の進行を遅延させる方法が項目13~22

、25若しくは26に記載の方法であり、またはCNS障害を予防するまたは障害の進行を遅延させる方法が項目24～26に記載の方法である、前記組成物。

(項目28)

薬物の製造におけるC1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)の使用であって、(i)項目13～22、25若しくは26に記載の方法によってCNS障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるための、または(ii)項目24～26に記載の方法によつてCNS障害を予防するまたは障害の進行を遅延させるための薬物の製造における、C1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)の使用。

(項目29)

キットであつて、(i)C1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)と(ii)視神経脊髄炎(NMO)または視神経脊髄炎スペクトル障害(NMOSD)を治療するまたは障害の進行を遅延させるのに有効な追加の生物学的に活性のある作用剤とを含み、

前記成分(i)及び(ii)が患者に同時投与または連続投与するために包装される、前記キット。

(項目30)

C1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)及び追加の生物学的に活性のある作用剤であつて、

(i)方法が積極的なCNS攻撃の間にC1-INHを投与することを含む、補体免疫系の活性化を阻害することによって緩和されるCNS障害を治療するまたは障害の進行を遅延させる方法；

(ii)方法が積極的なCNS攻撃の発病時にC1-INHを投与することを含む、補体免疫の活性化を阻害することによって緩和されるCNS障害を予防するまたは障害の進行を遅延させる方法；

(i)または(ii)の障害が視神経脊髄炎(NMO)または視神経脊髄炎スペクトル障害(NMOSD)であり、前記生物学的に活性のある作用剤が視神経脊髄炎(NMO)または視神経脊髄炎スペクトル障害(NMOSD)障害を治療するまたは障害の進行を遅延させるのに有効である、前記C1-エステラーゼ阻害因子(C1-INH)及び追加の生物学的に活性のある作用剤。

(項目31)

追加の生物学的に活性のある作用剤が、メチルプレドニゾロンのようなグルココルチコイド、静脈内免疫グロブリン製剤または抗リンパ球製剤、マイコフェノレート、リツキシマブ及び/またはエクリズマブ、またはそれらの組み合わせから成る群から選択される項目29に記載のキットまたは項目30に記載の製剤。