

【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26年7月3日(2014.7.3)

【公表番号】特表2013-533213(P2013-533213A)

【公表日】平成25年8月22日(2013.8.22)

【年通号数】公開・登録公報2013-045

【出願番号】特願2013-510362(P2013-510362)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/551 (2006.01)

C 0 7 K 14/47 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 15/115 (2010.01)

C 0 7 D 495/14 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 45/00 Z N A

A 6 1 P 35/02

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/551

C 0 7 K 14/47

C 1 2 N 15/00 G

C 1 2 N 15/00 H

C 0 7 D 495/14 E

【手続補正書】

【提出日】平成26年5月14日(2014.5.14)

【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】

B r d 4 を阻害する作用物質またはその誘導体を含んでなる、白血病または関連障害を治療するための医薬組成物。

【請求項 2】

前記作用物質が、式 I ~ X X I I のいずれかの化合物、または本明細書で開示されるいずれかの化合物、またはその誘導体である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

前記白血病が、急性骨髄性白血病（AML）、慢性リンパ球性白血病（CLL）、急性リンパ球性白血病（ALL）、慢性骨髄性白血病（CML）、慢性骨髄単核白血病（CMML）、好酸球性白血病、有毛細胞白血病、ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫、非ホジキンリンパ腫、骨髄増殖性障害または骨髄異形成症候群である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

Brd4 を阻害する作用物質またはその誘導体を含んでなる、白血病細胞の成長、増殖または生存を低下させるための医薬組成物。

【請求項 5】

Brd4 を阻害する作用物質またはその誘導体を含んでなる、白血病細胞における細胞死または最終分化を誘導するための医薬組成物。

【請求項 6】

細胞が対象中にある、請求項 1 ～ 4 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

細胞が、急性骨髄性白血病（AML）、慢性リンパ球性白血病（CLL）、急性リンパ球性白血病（ALL）、慢性骨髄性白血病（CML）、慢性骨髄単核白血病（CMML）、好酸球性白血病、有毛細胞白血病、ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫、非ホジキンリンパ腫、脊髄形成異常症または骨髄増殖性障害に由来する、請求項 1 ～ 4 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

Brd4 を阻害する作用物質を含んでなる、対象において急性骨髄性白血病を治療するための医薬組成物。

【請求項 9】

前記作用物質が、小型化合物または阻害性核酸分子である、請求項 1 ～ 8 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

前記小型化合物が、JQ1 またはその誘導体である、請求項 9 に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

前記阻害性核酸分子が、siRNA、shRNA またはアンチセンス核酸分子である、請求項 9 に記載の医薬組成物。

【請求項 12】

前記対象が哺乳類である、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 13】

前記対象がヒト患者である、請求項 12 に記載の医薬組成物。

【請求項 14】

前記ヒト患者が成人である、請求項 13 に記載の医薬組成物。

【請求項 15】

前記ヒト患者が小児である、請求項 13 に記載の医薬組成物。

【請求項 16】

前記作用物質が、対象中で白血病細胞の成長、増殖または生存を低下させる、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 17】

治療効果のある賦形剤中に、Brd4 を阻害する作用物質またはその誘導体を含んでなる医薬組成物。

【請求項 18】

Brd4 を阻害する作用物質、および請求項 8 に規定の用途における作用物質の投与のための指示書を含んでなる、白血病を治療するためのキット。

【請求項 19】

白血病細胞を Brd4 阻害性作用物質またはその誘導体に接触させるステップと、前記

細胞中でマクロファージ特異的分化マーカーの発現を検出するステップを含んでなり、前記マクロファージ特異的分化マーカーの発現増大が、前記細胞が前記作用物質に対して応答性であることを示す、白血病細胞の臨床応答性を検出する方法。

【請求項 20】

対象の白血病細胞を B r d 4 阻害性作用物質またはその誘導体に接触させるステップと、前記細胞中でマクロファージ特異的分化マーカーの発現を検出するステップを含んでなり、前記マクロファージ特異的分化マーカーの発現増大が、その作用物質を含む治療計画を前記対象のために選択すべきであることを示す、白血病を有すると同定された対象のために、治療計画を選択する方法。

【請求項 21】

白血病細胞を B r d 4 阻害性作用物質またはその誘導体に接触させるステップと、前記細胞中の m y c の発現または生物学的活性を検出するステップを含んでなり、m y c の発現または生物学的活性の低下が、前記細胞が前記作用物質に応答性であることを示す、白血病細胞の臨床応答性を検出する方法。

【請求項 22】

白血病細胞を B r d 4 阻害性作用物質またはその誘導体に接触させるステップと、m y c の発現または生物学的活性を検出するステップを含んでなり、m y c の発現または生物学的活性の低下が、前記作用物質を含む治療計画を対象のために選択すべきことを示す、前記対象のために治療計画を選択する方法。