

【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30年4月12日 (2018.4.12)

【公表番号】特表2017-511387(P2017-511387A)

【公表日】平成29年4月20日 (2017.4.20)

【年通号数】公開・登録公報2017-016

【出願番号】特願2017-506619(P2017-506619)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/365 (2006.01)

A 6 1 K 31/201 (2006.01)

A 6 1 K 31/202 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

C 0 7 D 323/00 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 31/365

A 6 1 K 31/201

A 6 1 K 31/202

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 25/00

C 0 7 D 323/00

【手続補正書】

【提出日】平成30年2月28日 (2018.2.28)

【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】

プロテインキナーゼ C (P K C) 活性化剤を含む、脂質蓄積障害の治療における使用のための薬学的組成物であって、該 P K C 活性化剤が、プリオスタチン、プリオログ、または多価不飽和脂肪酸である、薬学的組成物。

【請求項 2】

プリオスタチンが、プリオスタチン 1、プリオスタチン 2、プリオスタチン 3、プリオスタチン 4、プリオスタチン 5、プリオスタチン 6、プリオスタチン 7、プリオスタチン 8、プリオスタチン 9、プリオスタチン 10、プリオスタチン 11、プリオスタチン 12、プリオスタチン 13、プリオスタチン 14、プリオスタチン 15、プリオスタチン 16、プリオスタチン 17、プリオスタチン 18、プリオスタチン 19、およびプリオスタチンより選択される、請求項 1 記載の薬学的組成物。

【請求項 3】

脂質蓄積障害が、ニーマン・ピック病である、請求項 1 または 2 記載の薬学的組成物。

【請求項 4】

ニーマン・ピック病が、ニーマン・ピック病 C 型である、請求項 3 記載の薬学的組成物。

【請求項 5】

P K C 活性化剤が、薬学的有効量で投与されるように用いられる、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項記載の薬学的組成物。

【請求項 6】

薬学的有効量が投薬あたり $0.0000001 \text{ mg/kg} \sim 250 \text{ mg/kg}$ である、請求項 5 記載の薬学的組成物。

【請求項 7】

薬学的有効量が投薬あたり $0.00001 \text{ mg/kg} \sim 5.0 \text{ mg/kg}$ である、請求項 5 記載の薬学的組成物。

【請求項 8】

ブリオスタチンが、ブリオスタチン 1 である、請求項 1 ～ 7 のいずれか一項記載の薬学的組成物。

【請求項 9】

ブリオスタチン 1 が $0.01 \sim 25 \mu\text{g/m}^2$ IV の用量で投与されるように用いられる、請求項 8 記載の薬学的組成物。

【請求項 10】

PKC 活性化剤が、経口で、腹腔内に、皮下に、鼻腔内に、口腔に、経皮的に、筋肉内に、直腸内に、静脈内に、または経口吸入によって投与されるように用いられる、請求項 1 ～ 8 のいずれか一項記載の薬学的組成物。

【請求項 11】

PKC 活性化剤が、1 日あたり 1 ～ 4 回、1 週間に 2 回、1 週間に 1 回、2 週間ごとに 1 回、3 週間ごとに 1 回、4 週間ごとに 1 回、6 週間ごとに 1 回、8 週間ごとに 1 回、またはさらに低い頻度で投与されるように用いられる、請求項 1 ～ 10 のいずれか一項記載の薬学的組成物。

【請求項 12】

ブリオスタチン 1 を含む、脂質蓄積障害の治療における使用のための薬学的組成物。

【請求項 13】

ブリオスタチン 1 を含む、ニーマン・ピック病 C 型の治療における使用のための薬学的組成物。

【請求項 14】

ブリオスタチン 1 が、薬学的有効量で投与されるように用いられる、請求項 12 または 13 記載の薬学的組成物。

【請求項 15】

薬学的有効量が投薬あたり $0.0000001 \text{ mg/kg} \sim 250 \text{ mg/kg}$ である、請求項 14 記載の薬学的組成物。

【請求項 16】

薬学的有効量が投薬あたり $0.00001 \text{ mg/kg} \sim 5.0 \text{ mg/kg}$ である、請求項 14 記載の薬学的組成物。

【請求項 17】

ブリオスタチン 1 が $0.01 \sim 25 \mu\text{g/m}^2$ IV の用量で投与されるように用いられる、請求項 12 ～ 16 のいずれか一項記載の薬学的組成物。

【請求項 18】

ブリオスタチン 1 が、経口で、腹腔内に、皮下に、鼻腔内に、口腔に、経皮的に、筋肉内に、直腸内に、静脈内に、または経口吸入によって投与されるように用いられる、請求項 12 ～ 16 のいずれか一項記載の薬学的組成物。

【請求項 19】

ブリオスタチン 1 が、1 日あたり 1 ～ 4 回、1 週間に 2 回、1 週間に 1 回、2 週間ごとに 1 回、3 週間ごとに 1 回、4 週間ごとに 1 回、6 週間ごとに 1 回、8 週間ごとに 1 回、またはさらに低い頻度で投与されるように用いられる、請求項 12 ～ 18 のいずれか一項記載の薬学的組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0013

【補正方法】変更

【補正の内容】

【 0 0 1 3 】

[本発明1001]

ニーマン・ピック病C型の治療における使用のための、薬学的有効量のプリオスタチン1

。

[本発明1002]

ニーマン・ピック病C型または脂質蓄積障害の治療における使用のための、薬学的有効量のプリオスタチン1~20、プリオログ、多価不飽和脂肪酸、またはそれらの組み合わせ

。

[本発明1003]

薬学的有効量が投薬あたり約0.0000001mg/kg ~ 約250mg/kgである、本発明1001または1002の方法。

[本発明1004]

薬学的有効量が投薬あたり約0.00001mg/kg ~ 約5.0mg/kgである、本発明1001または1002の方法。

[本発明1005]

薬学的有効量のプリオスタチン1が0.01 ~ 25 $\mu\text{g}/\text{m}^2$ IVの用量で提供される、本発明1001の方法。

本開示の特徴および利点は、後に続く態様についての説明を読めば、当業者に容易に明らかであろう。