

【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31年1月24日(2019.1.24)

【公表番号】特表2018-516944(P2018-516944A)

【公表日】平成30年6月28日(2018.6.28)

【年通号数】公開・登録公報2018-024

【出願番号】特願2017-563314(P2017-563314)

【国際特許分類】

A 6 1 K 38/16 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 37/06 (2006.01)

C 0 7 K 14/435 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 38/16

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 37/06

C 0 7 K 14/435 Z N A

【手続補正書】

【提出日】平成30年12月7日(2018.12.7)

【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】

対象において急性GVHDを治療又は予防するための、図2のアミノ酸配列(配列番号2)のアミノ酸19~168を含むタンパク質又はこのタンパク質の機能的等価物であり、全身投与される薬剤。

【請求項2】

対象においてGVHDを治療又は予防するための、図2のアミノ酸配列(配列番号2)のアミノ酸19~168を含むタンパク質又はこのタンパク質の機能的等価物をコードする核酸分子であり、全身投与される薬剤。

【請求項3】

対象が、補体C5多型を有しない又は補体C5多型について試験されていない、請求項1若しくは2に記載の薬剤。

【請求項4】

対象が、補体経路の1つ以上の活性化の障害におけるモノクローナル抗体薬剤の有効性を低下させる補体C5多型、例えば補体経路の1つ以上の活性化の障害におけるモノクローナル抗体エクリズマブの有効性を低下させる補体C5多型、を有しない又はそれについて試験されていない、請求項1~3のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項5】

対象が、古典的補体経路、代替補体経路及びレクチン補体経路を障害する1つ以上の薬剤の有効性を低下させるが、コパーシン又はその機能的等価物の有効性を低下させない補体C5多型を有しない又はそれについて試験されていない、請求項1~3のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項6】

対象が、C5タンパク質に対する別の薬剤(エクリズマブなど)のアフィニティを増大さ

せる補体C5多型を有しない又はそれについて試験されていない、請求項1～5のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項7】

対象が、補体経路の1つ以上の活性化を阻害することが意図されたモノクローナル抗体薬剤処置、好ましくはエクリズマブであるモノクローナル抗体薬剤処置に対する耐性を有しない又はそれについて試験されていない、請求項1～6のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項8】

対象が、補体経路の1つ以上の活性化を阻害することが意図されたモノクローナル抗体薬剤処置で処置されていない、請求項1～7のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項9】

対象が、エクリズマブで処置されていない、請求項1～8のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項10】

対象が、異なる薬剤（例えば、抗C5抗体）の対象における有効性の低下に基づいて、本発明の薬剤による治療のために選択されていない、請求項1～9のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項11】

対象がステージ+、++、+++若しくは++++のGVHD症状を有する、及び/又は対象がI、II、III若しくはIVの臨床グレードを有する、請求項1～10のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項12】

対象が、組織損傷、例えばGVHDに起因する内部（腸などの）組織損傷を有する、請求項1～10のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項13】

対象が、

- (i) 同種造血細胞移植（HCT）後の急性GVHDを有する、及び/又は
 - (ii) GVHD予防を受けていない、
 - (iii) 少なくとも5歳である、
 - (iv) HLA非同一幹細胞を受けている、
 - (v) 固形臓器移植後若しくは未照射血液製剤の輸血後の急性GVHDを有する、
 - (vi) 自己若しくは同系HCTの後の急性GVHDを有する、
- 請求項1～12のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項14】

対象が超急性GVHDを有する、請求項1～13のいずれか1項に記載の薬剤。

【請求項15】

治療が、

- (i) 少なくとも6週間にわたり、及び/又は
 - (ii) 対象がもはや急性GVHDに罹患していないとみなされるまで、及び/又は
 - (iii) 対象がもはや治療を必要としなくなるまで、
- 継続される、請求項1～14のいずれか1項に記載の薬剤。

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0123

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0123】

本発明は、例えば以下の実施形態を包含する：

[1] 急性GVHDを治療又は予防する方法であって、その必要がある対象に、治療上又は予防上有効な量の、図2のアミノ酸配列（配列番号2）のアミノ酸19～168を含むタンパク質又はこのタンパク質の機能的等価物である薬剤を全身投与することを含む方法。

[2] 対象において急性GVHDを治療又は予防するための、図2のアミノ酸配列（配列番号2）のアミノ酸19～168を含むタンパク質又はこのタンパク質の機能的等価物であり、全身投与される薬剤。

[3] 急性GVHDを治療又は予防する方法であって、その必要がある対象に、治療上又は予防上有効な量の、図2のアミノ酸配列（配列番号2）のアミノ酸19～168を含むタンパク質又はこのタンパク質の機能的等価物をコードする核酸分子である薬剤を全身投与することを含む方法。

[4] 対象においてGVHDを治療又は予防するための、図2のアミノ酸配列（配列番号2）のアミノ酸19～168を含むタンパク質又はこのタンパク質の機能的等価物をコードする核酸分子であり、全身投与される薬剤。

[5] 対象が、補体C5多型を有しない又は補体C5多型について試験されていない、[1] 若しくは[3] に記載の方法又は[2] 若しくは[4] に記載の薬剤。

[6] 対象が、補体経路の1つ以上の活性化の障害におけるモノクローナル抗体薬剤の有効性を低下させる補体C5多型、例えば補体経路の1つ以上の活性化の障害におけるモノクローナル抗体エクリズマブの有効性を低下させる補体C5多型、を有しない又はそれについて試験されていない、[1]、[3] 及び[5] のいずれかに記載の方法又は[2]、[4] 及び[5] のいずれかに記載の薬剤。

[7] 対象が、古典的補体経路、代替補体経路及びレクチン補体経路を障害する1つ以上の薬剤の有効性を低下させるが、コパーシン又はその機能的等価物の有効性を低下させない補体C5多型を有しない又はそれについて試験されていない、[1]、[3] 及び[5] のいずれかに記載の方法又は[2]、[4] 及び[5] のいずれかに記載の薬剤。

[8] 対象が、C5タンパク質に対する別の薬剤（エクリズマブなど）のアフィニティを増大させる補体C5多型を有しない又はそれについて試験されていない、[1] 及び[3] ～[7] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[7] のいずれかに記載の薬剤。

[9] 対象が、補体経路の1つ以上の活性化を障害することが意図されたモノクローナル抗体薬剤処置、好ましくはエクリズマブであるモノクローナル抗体薬剤処置に対する耐性を有しない又はそれについて試験されていない、[1] 及び[3] ～[8] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[8] のいずれかに記載の薬剤。

[10] 対象が、補体経路の1つ以上の活性化を障害することが意図されたモノクローナル抗体薬剤処置で処置されていない、[1] 及び[3] ～[9] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[9] のいずれかに記載の薬剤。

[11] 対象が、エクリズマブで処置されていない、[1] 及び[3] ～[10] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[10] のいずれかに記載の薬剤。

[12] 対象が、異なる薬剤（例えば、抗C5抗体）の対象における有効性の低下に基づいて、本発明の薬剤による治療のために選択されていない、[1] 及び[3] ～[11] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[11] のいずれかに記載の薬剤。

[13] 対象がステージ+、++、+++若しくは++++のGVHD症状を有する、及び/又は対象がI、II、III若しくはIVの臨床グレードを有する、[1] 及び[3] ～[12] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[12] のいずれかに記載の薬剤。

[14] 対象が、組織損傷、例えばGVHDに起因する内部（腸などの）組織損傷を有する、[1] 及び[3] ～[12] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[12] のいずれかに記載の薬剤。

[15] 対象が、

(i) 同種造血細胞移植（HCT）後の急性GVHDを有する、及び/又は

(ii) GVHD予防を受けていない、

(iii) 少なくとも5歳である、

(iv) HLA非同一幹細胞を受けている、

(v) 固形臓器移植後若しくは未照射血液製剤の輸血後の急性GVHDを有する、

(vi) 自己若しくは同系HCTの後の急性GVHDを有する、

[1] 及び[3] ～[14] のいずれかに記載の方法又は[2] 及び[4] ～[14] の

いずれかに記載の薬剤。

[1 6] 対象が超急性GVHDを有する、[1] 及び [3] ~ [1 5] のいずれかに記載の方法又は [2] 及び [4] ~ [1 4] のいずれかに記載の薬剤。

[1 7] 治療が、

(i) 少なくとも6週間にわたり、及び / 又は

(ii) 対象がもはや急性GVHDに罹患していないとみなされるまで、及び / 又は

(iii) 対象がもはや治療を必要としなくなるまで、

継続される、[1] 及び [3] ~ [1 6] のいずれかに記載の方法又は [2] 及び [4] ~ [1 6] のいずれかに記載の薬剤。

以下、実施例によって本発明の種々の態様及び実施形態をより詳細に説明する。本発明の範囲から逸脱することなく細部を変更することができることは理解されよう。