

【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22年4月2日 (2010.4.2)

【公表番号】特表2009-530299(P2009-530299A)

【公表日】平成21年8月27日 (2009.8.27)

【年通号数】公開・登録公報2009-034

【出願番号】特願2009-500498(P2009-500498)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 P 7/00 (2006.01)

A 6 1 P 7/06 (2006.01)

A 6 1 P 7/02 (2006.01)

A 6 1 P 15/10 (2006.01)

A 6 1 P 9/12 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 13/02 (2006.01)

A 6 1 K 31/565 (2006.01)

A 6 1 K 39/395 (2006.01)

C 0 7 K 16/18 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 7/00

A 6 1 P 7/06

A 6 1 P 7/02

A 6 1 P 15/10

A 6 1 P 9/12

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 13/02

A 6 1 K 31/565

A 6 1 K 39/395 D

A 6 1 K 39/395 N

C 0 7 K 16/18 Z N A

【手続補正書】

【提出日】平成22年2月9日 (2010.2.9)

【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】

発作性夜間血色素尿症を患う患者のクオリティオブライフの少なくとも一態様を改善するための組成物であって、補体を阻害するか、若しくは C 5 b - 9 の形成を阻害する化合物を含む、組成物。

【請求項 2】

前記クオリティオブライフが F A C I T - F a t i g u e スコアで測定される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

前記 F A C I T - F a t i g u e スコアが少なくとも 3 ポイント増加する、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

前記 F A C I T - F a t i g u e スコアが 4 ポイント以上増加する、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 5】

前記クオリティオブライフが E O R T C Q L Q - C 3 0 スコアで測定される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 6】

前記 E O R T C Q L Q - C 3 0 スコアが処置前スコアの 1 0 % 以上改善する、請求項 5 に記載の組成物。

【請求項 7】

E O R T C Q L Q - C 3 0 スコアで測定されるクオリティオブライフの前記態様が、a) 全体的な健康状態、b) 身体機能、c) 情緒機能、d) 認知機能、e) 役割機能、f) 社会的機能、g) 疲労、h) 疼痛、i) 呼吸困難、j) 食欲の喪失、及び k) 不眠症からなる群から選択される、請求項 5 に記載の組成物。

【請求項 8】

クオリティオブライフの前記態様が疲労である、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記化合物が、C R 1、L E X - C R 1、M C P、D A F、C D 5 9、H 因子、コブラ毒因子、F U T - 1 7 5、コンプレスタチン及び K 7 6 C O O H からなる群から選択される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 1 0】

前記化合物が、補体を抑制するステロイドである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 1 1】

前記化合物が、抗体、活性抗体フラグメント、可溶性補体阻害化合物、タンパク質、脂質尾部を有する可溶性補体インヒビター、タンパク質フラグメント、ペプチド、低分子有機化合物、R N A アプタマー、L - R N A アプタマー、スปีゲルマー、アンチセンス化合物、セリンプロテアーゼインヒビター、2 本鎖 R N A、低分子干渉 R N A、ロックド核酸インヒビター及びペプチド核酸インヒビターからなる群から選択される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 1 2】

前記化合物が抗体又は活性抗体フラグメントである、請求項 1 1 に記載の組成物。

【請求項 1 3】

前記抗体又は活性抗体フラグメントが、a) ポリクローナル抗体、b) モノクローナル抗体、c) 単鎖抗体、d) キメラ抗体、e) ヒト化抗体、f) F a b、g) F ( a b ' )、h) F ( a b ' )<sub>2</sub>、i) F v、j) ダイアボディ、及び k) ヒト抗体からなる群から選択される、請求項 1 2 に記載の組成物。

【請求項 1 4】

前記抗体又は活性抗体フラグメントが C 5 切断を遮断する、請求項 1 2 に記載の組成物。

【請求項 1 5】

前記抗体又は活性抗体フラグメントが C 5 b - 9 の形成を阻害する、請求項 1 2 に記載の組成物。

【請求項 1 6】

前記抗体がエクリズマブである、請求項 1 2 に記載の組成物。

【請求項 1 7】

前記組成物が少なくとも 6 ヶ月間投与されることを特徴とする、請求項 1 2 に記載の組成物。

【請求項 1 8】

前記患者が再生不良性貧血又は骨髓異形成症候群を有する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 19】

前記患者が貧血である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 20】

前記組成物の投与により、前記患者が、投与後に貧血のままである、請求項 19 に記載の組成物。

【請求項 21】

前記患者のヘモグロビンレベルが、i) 男性の場合 14 g / d L 未満、又は ii) 女性の場合 12 g / d L 未満である、請求項 19 に記載の組成物。

【請求項 22】

前記患者のヘモグロビンレベルが、i) 男性の場合 13 g / d L 未満、又は ii) 女性の場合 11 g / d L 未満である、請求項 19 に記載の組成物。

【請求項 23】

前記患者のヘモグロビンレベルが、i) 男性の場合 12 g / d L 未満、又は ii) 女性の場合 10 g / d L 未満である、請求項 19 に記載の組成物。

【請求項 24】

前記組成物によって前記患者の LDH が 30 % を超えて低下する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 25】

前記組成物が脈管内溶血を阻害する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 26】

前記患者は貧血であり、前記組成物の投与により、前記患者が、投与後に貧血のままである、請求項 25 に記載の組成物。

【請求項 27】

発作性夜間血色素尿症を患う患者のクオリティオブライフの少なくとも一態様を改善するための組成物であって、脈管内溶血を阻害する化合物を含む、組成物。

【請求項 28】

貧血が少なくとも部分的に溶血に起因する貧血患者のクオリティオブライフの少なくとも一態様を改善するための組成物であって、脈管内溶血を阻害する化合物を含み、該組成物の投与により、該患者が貧血のままである、組成物。

【請求項 29】

患者の健康調整平均余命を延長するための組成物であって、補体を阻害するか、若しくは C5b - 9 の形成を阻害する化合物を含む、組成物。

【請求項 30】

前記患者が貧血である、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 31】

前記組成物の投与により、前記患者が、投与後に貧血のままである、請求項 30 に記載の組成物。

【請求項 32】

前記患者のヘモグロビンレベルが、i) 男性の場合 14 g / d L 未満、又は ii) 女性の場合 12 g / d L 未満である、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 33】

前記患者のヘモグロビンレベルが、i) 男性の場合 13 g / d L 未満、又は ii) 女性の場合 11 g / d L 未満である、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 34】

前記患者のヘモグロビンレベルが、i) 男性の場合 12 g / d L 未満、又は ii) 女性の場合 10 g / d L 未満である、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 35】

前記患者が発作性夜間血色素尿症を患う、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 36】

前記健康調整平均余命が、損失生存可能年数、無障害平均余命、健康調整生存年数、質調整生存年数、健康当量年数、健康日数の増加、無エピソード日数、Q - T W i S T、健康効用指標又は健康生存年数からなる群から選択される単位に従って測定される、請求項 2 9 に記載の組成物。

【請求項 3 7】

被験体の健康調整平均余命が少なくとも 1 日間延長される、請求項 3 6 に記載の組成物。

【請求項 3 8】

被験体の健康調整平均余命が少なくとも 1 週間延長される、請求項 3 6 に記載の組成物。

【請求項 3 9】

被験体の健康調整平均余命が少なくとも一ヶ月間延長される、請求項 3 6 に記載の組成物。

【請求項 4 0】

被験体の健康調整平均余命が少なくとも 1 年間延長される、請求項 3 6 に記載の組成物。

【請求項 4 1】

前記化合物が、C R 1、L E X - C R 1、M C P、D A F、C D 5 9、H 因子、コブラ毒因子、F U T - 1 7 5、コンプレスタチン及び K 7 6 C O O H からなる群から選択される、請求項 2 9 に記載の組成物。

【請求項 4 2】

前記化合物が、補体を抑制するステロイドである、請求項 2 9 に記載の組成物。

【請求項 4 3】

前記化合物が、抗体、活性抗体フラグメント、可溶性補体阻害化合物、タンパク質、脂質尾部を有する可溶性補体インヒビター、タンパク質フラグメント、ペプチド、低分子有機化合物、R N A アプタマー、L - R N A アプタマー、スビーゲルマー、アンチセンス化合物、セリンプロテアーゼインヒビター、2 本鎖 R N A、低分子干渉 R N A、ロックド核酸インヒビター及びペプチド核酸インヒビターからなる群から選択される、請求項 2 9 に記載の組成物。

【請求項 4 4】

前記化合物が抗体又は活性抗体フラグメントである、請求項 4 3 に記載の組成物。

【請求項 4 5】

前記抗体又は活性抗体フラグメントが、a ) ポリクローナル抗体、b ) モノクローナル抗体、c ) 単鎖抗体、d ) キメラ抗体、e ) ヒト化抗体、f ) F a b、g ) F ( a b ' )、h ) F ( a b ' )<sub>2</sub>、i ) F v、j ) ダイアボディ、及び k ) ヒト抗体からなる群から選択される、請求項 4 4 に記載の組成物。

【請求項 4 6】

前記抗体又は活性抗体フラグメントが C 5 切断を遮断する、請求項 4 4 に記載の組成物。

【請求項 4 7】

前記組成物が少なくとも 6 ヶ月間投与されることを特徴とする、請求項 4 4 に記載の組成物。

【請求項 4 8】

前記組成物が補体を阻害するか、若しくは C 5 b - 9 の形成を阻害する、請求項 2 9 に記載の組成物。

【請求項 4 9】

前記化合物が抗体又は活性抗体フラグメントである、請求項 4 8 に記載の組成物。

【請求項 5 0】

前記抗体がエクリズマブである、請求項 4 9 に記載の組成物。

【請求項 5 1】

前記患者が再生不良性貧血又は骨髓異形成症候群を有する、請求項 2 9 に記載の 組成物

。