

【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】令和4年12月26日(2022.12.26)

【国際公開番号】WO2020/132210

【公表番号】特表2022-514089(P2022-514089A)

【公表日】令和4年2月9日(2022.2.9)

【年通号数】公開公報(特許)2022-024

【出願番号】特願2021-535585(P2021-535585)

【国際特許分類】

10

A 61K 45/00(2006.01)

A 61P 1/04(2006.01)

A 61K 31/519(2006.01)

【F I】

A 61K 45/00

A 61P 1/04

A 61K 31/519

【手続補正書】

【提出日】令和4年12月16日(2022.12.16)

20

【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】

対象における胃腸疾患または障害を治療するための医薬であって、JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩を含む医薬であり、

前記JAK1経路阻害剤を投与した後の前記JAK1経路阻害剤の最大便濃度が約25nM超であり、前記JAK1経路阻害剤を投与した後の最大総血漿濃度が約150nM未満である、

前記医薬。

【請求項2】

前記JAK1経路阻害剤が、JAK2、JAK3、及びTyk2よりもJAK1に対して選択的である、請求項1に記載の医薬。

【請求項3】

前記胃腸疾患または障害が、潰瘍性大腸炎(UC)である、請求項1または2に記載の医薬。

【請求項4】

前記胃腸疾患または障害が、クローン病である、請求項1または2に記載の医薬。

【請求項5】

前記胃腸疾患または障害が、セリック病である、請求項1または2に記載の医薬。

【請求項6】

前記胃腸疾患または障害が、自発性大腸炎である、請求項1または2に記載の医薬。

【請求項7】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約50mg～約100mgの1日用量で投与される、請求項1～6のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項8】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約25mg～約75m

50

g の 1 日用量で投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 9】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 25 mg の 1 日用量で投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 10】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 50 mg の 1 日用量で投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 11】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 100 mg の 1 日用量で投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

10

【請求項 12】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 25 mg の用量で 1 日 1 回投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 13】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 50 mg の総 1 日投与のために、約 25 mg の用量で 1 日 2 回投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 14】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 50 mg の用量で 1 日 1 回投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

20

【請求項 15】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 100 mg の総 1 日投与のために、約 50 mg の用量で 1 日 2 回投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 16】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 100 mg の用量で 1 日 1 回投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 17】

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩を各々含む 1 つ以上の持続放出剤形として投与される、請求項 1 ~ 16 のいずれか一項に記載の医薬。

30

【請求項 18】

前記 J A K 1 経路阻害剤が、{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - ( トリフルオロメチル ) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 [ 4 - ( 7 H - ピロロ [ 2 , 3 - d ] ピリミジン - 4 - イル ) - 1 H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩である、請求項 1 ~ 17 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 19】

前記 J A K 1 経路阻害剤が、{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - ( トリフルオロメチル ) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 [ 4 - ( 7 H - ピロロ [ 2 , 3 - d ] ピリミジン - 4 - イル ) - 1 H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリルアジピン酸塩である、請求項 1 ~ 17 のいずれか一項に記載の医薬。

40

【請求項 20】

前記 J A K 1 経路阻害剤の最大便濃度が、前記 J A K 1 経路阻害剤の投与後に約 50 nM 超である、請求項 1 ~ 19 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 21】

前記 J A K 1 経路阻害剤の最大総血漿濃度が、前記 J A K 1 経路阻害剤の投与後に約 150 nM 未満である、請求項 1 ~ 20 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 22】

前記 J A K 1 経路阻害剤の最大総血漿濃度が、前記 J A K 1 経路阻害剤の投与後に約 1

50

41nM未満である、請求項1～21のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項23】

対象における胃腸疾患を治療するための医薬であって、JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩を含む医薬であり、

JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約25mg～100mgの1日用量で投与され、

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩を含む1つ以上の持続放出剤形として投与される、前記医薬。

【請求項24】

潰瘍性大腸炎、クローン病及びセリック病からなる群から選択される胃腸疾患の治療を必要とする対象において潰瘍性大腸炎、クローン病及びセリック病からなる群から選択される胃腸疾患を治療するための医薬であって、{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を含む医薬であり、

{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を投与した後の{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリルの最大便濃度が、約25nM超であり、

{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を投与した後の{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリルの最大総血漿濃度が、約150nM未満である、

前記医薬。

【請求項25】

対象における潰瘍性大腸炎、クローン病、及びセリック病からなる群から選択される胃腸疾患を治療するための医薬であって、{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を含む医薬であり、

{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩が、遊離塩基ベースで約25mg～約100mgの1日1回用量で投与され、

前記用量が、{1- {1- [3-フルオロ-2-(トリフルオロメチル)イソニコチノイル]ピペリジン-4-イル} - 3 - [4 - (7H-ピロロ[2,3-d]ピリミジン-4-イル) - 1H - ピラゾール-1-イル]アゼチジン-3-イル}アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を各々含む1つ以上の持続放出剤形を含む、前記医薬。

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0215

10

20

30

40

50

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0215】

本明細書に記載されるものに加えて、本発明の様々な修正は、前述の記載から当業者に明らかとなるであろう。かかる修正はまた、添付の特許請求の範囲の範囲内に該当するよう意図される。本出願に引用される全ての特許、特許出願、及び刊行物を含む各参考文献は、その全体の参照により本明細書に組み込まれる。

本願は下記の態様も包含する。

【態様1】

対象における胃腸疾患または障害を治療するための方法であって、JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩を前記対象に投与することを含み、前記JAK1経路阻害剤を投与した後の前記JAK1経路阻害剤の最大便濃度が約25nM超であり、前記JAK1経路阻害剤を投与した後の最大総血漿濃度が約150nM未満である、前記方法。

10

【態様2】

前記JAK1経路阻害剤が、JAK2、JAK3、及びTyk2よりもJAK1に対して選択的である、態様1に記載の方法。

【態様3】

前記胃腸疾患または障害が、潰瘍性大腸炎(UC)である、態様1または2に記載の方法。

20

【態様4】

前記胃腸疾患または障害が、クローン病である、態様1または2に記載の方法。

【態様5】

前記胃腸疾患または障害が、セリック病である、態様1または2に記載の方法。

【態様6】

前記胃腸疾患または障害が、自発性大腸炎である、態様1または2に記載の方法。

【態様7】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約50mg～約100mgの1日用量で投与される、態様1に記載の方法。

30

【態様8】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約25mg～約75mgの1日用量で投与される、態様1に記載の方法。

【態様9】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約25mgの1日用量で投与される、態様1に記載の方法。

【態様10】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約50mgの1日用量で投与される、態様1に記載の方法。

40

【態様11】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約100mgの1日用量で投与される、態様1に記載の方法。

【態様12】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約25mgの用量で1日1回投与される、態様1に記載の方法。

【態様13】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約50mgの総1日投与のために、約25mgの用量で1日2回投与される、態様1に記載の方法。

【態様14】

前記JAK1経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約50mgの用量で1日1回投与される、態様1に記載の方法。

50

〔 態 標 1 5 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 1 0 0 m g の総 1 日投与のために、約 5 0 m g の用量で 1 日 2 回投与される、態様 1 に記載の方法。

〔 態 標 1 6 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、約 1 0 0 m g の用量で 1 日 1 回投与される、態様 1 に記載の方法。

〔 態 標 1 7 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩を各々含む 1 つ以上の持続放出剤形として投与される、態様 1 ~ 1 6 のいずれか一つに記載の方法。

〔 態 標 1 8 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤が、{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - ( トリフルオロメチル ) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 [ 4 - ( 7 H - ピロロ [ 2 , 3 - d ] ピリミジン - 4 - イル ) - 1 H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩である、態様 1 ~ 1 7 のいずれか一つに記載の方法。

〔 態 標 1 9 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤が、{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - ( トリフルオロメチル ) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 [ 4 - ( 7 H - ピロロ [ 2 , 3 - d ] ピリミジン - 4 - イル ) - 1 H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリルアジピン酸塩である、態様 1 ~ 1 7 のいずれか一つに記載の方法。

〔 態 標 2 0 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤の最大便濃度が、前記 J A K 1 経路阻害剤の投与後に約 5 0 n M 超である、態様 1 ~ 1 9 のいずれか一つに記載の方法。

〔 態 標 2 1 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤の最大総血漿濃度が、前記 J A K 1 経路阻害剤の投与後に約 1 5 0 n M 未満である、態様 1 ~ 2 0 のいずれか一つに記載の方法。

〔 態 標 2 2 〕

前記 J A K 1 経路阻害剤の最大総血漿濃度が、前記 J A K 1 経路阻害剤の投与後に約 1 4 1 n M 未満である、態様 1 ~ 2 1 のいずれか一つに記載の方法。

〔 態 標 2 3 〕

対象における胃腸疾患を治療するための方法であって、約 2 5 m g ~ 1 0 0 m g の J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩の 1 日用量を前記対象に投与することを含み、前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩が、前記 J A K 1 経路阻害剤、またはその薬学的に許容される塩を含む 1 つ以上の持続放出剤形として投与される、前記方法。

〔 態 標 2 4 〕

潰瘍性大腸炎、クローン病及びセリック病からなる群から選択される胃腸疾患の治療を必要とする対象においてそれを行うための方法であって、{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - ( トリフルオロメチル ) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 - [ 4 - ( 7 H - ピロロ [ 2 , 3 - d ] ピリミジン - 4 - イル ) - 1 H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を前記対象に投与することを含み、

{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - ( トリフルオロメチル ) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 - [ 4 - ( 7 H - ピロロ [ 2 , 3 - d ] ピリミジン - 4 - イル ) - 1 H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を投与した後の{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - ( トリフルオロメチル ) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 - [ 4 - ( 7 H - ピロロ [ 2 , 3 - d ] ピリミジン - 4 - イル ) - 1 H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリルの最大便濃度が、約 2 5 n M 超であり、

{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - (トリフルオロメチル) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 - [ 4 - (7H - ピロロ[2,3-d]ピリミジン - 4 - イル) - 1H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を投与した後の { 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - (トリフルオロメチル) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 - [ 4 - (7H - ピロロ[2,3-d]ピリミジン - 4 - イル) - 1H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリルの最大総血漿濃度が、約 150 nM 未満である、前記方法。

[ 態様 25 ]

対象における潰瘍性大腸炎、クローン病、及びセリック病からなる群から選択される胃腸疾患を治療するための方法であって、遊離塩基ベースで約 25 mg ~ 約 100 mg の { 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - (トリフルオロメチル) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 - [ 4 - (7H - ピロロ[2,3-d]ピリミジン - 4 - イル) - 1H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩の 1 日 1 回用量を前記対象に投与することを含み、前記用量が、{ 1 - { 1 - [ 3 - フルオロ - 2 - (トリフルオロメチル) イソニコチノイル ] ピペリジン - 4 - イル } - 3 - [ 4 - (7H - ピロロ[2,3-d]ピリミジン - 4 - イル) - 1H - ピラゾール - 1 - イル ] アゼチジン - 3 - イル } アセトニトリル、またはその薬学的に許容される塩を各々含む 1 つ以上の持続放出剤形を含む、前記方法。

10

20

30

40

50