

【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 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 P 1/04(2006.01)

A 6 1 K 31/519(2006.01)

【F I】

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 1/04

A 6 1 K 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、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医薬であり、

前記 J A K 1 経路阻害剤を投与した後の前記 J A K 1 経路阻害剤の最大便濃度が約 25 n M 超であり、前記 J A K 1 経路阻害剤を投与した後の最大総血漿濃度が約 150 n M 未満である、
前記医薬。

30

【請求項 2】

前記 J A K 1 経路阻害剤が、J A K 2、J A K 3、及び T y k 2 よりも J A K 1 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(U C)である、請求項 1 または 2 に記載の医薬。

【請求項 4】

40

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、セリアック病である、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 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 m g ~ 約 100 m 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 8】

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 m g ~ 約 75 m

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 n M 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 n M 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

4 1 n M 未満である、請求項 1 ~ 2 1 のいずれか一項に記載の医薬。

【請求項 2 3】

対象における胃腸疾患を治療するための医薬であって、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医薬であり、

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 2 5 m g ~ 1 0 0 m g の 1 日用量で投与され、

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、前記医薬。

【請求項 2 4】

潰瘍性大腸炎、クローン病及びセリア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ア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 - (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 - (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 - (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総血漿濃度が、約 1 5 0 n M 未満である、

前記医薬。

【請求項 2 5】

対象における潰瘍性大腸炎、クローン病、及びセリア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 - (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 - (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が、遊離塩基ベースで約 2 5 m g ~ 約 1 0 0 m g 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 - [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】0 2 1 5

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に意図される。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、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 経路阻害剤を投与した後の前記 J A K 1 経路阻害剤の最大便濃度が約 25 nM 超であり、前記 J A K 1 経路阻害剤を投与した後の最大総血漿濃度が約 150 nM 未満である、前記方法

10

[態様 2]

前記 J A K 1 経路阻害剤が、J A K 2、J A K 3、及び T y k 2 よりも J A K 1 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 (U C) 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、セリアック病である、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 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 m g ~ 約 100 m g の 1 日用量で投与される、態様 1 に記載の方法。

[態様 8]

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 m g ~ 約 75 m g の 1 日用量で投与される、態様 1 に記載の方法。

30

[態様 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 m g 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 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 m g の 1 日用量で投与される、態様 1 に記載の方法。

[態様 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 m g の 1 日用量で投与される、態様 1 に記載の方法。

40

[態様 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 m g の用量で 1 日 1 回投与される、態様 1 に記載の方法。

[態様 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 m g の総 1 日投与のために、約 25 m g の用量で 1 日 2 回投与される、態様 1 に記載の方法。

[態様 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 m g の用量で 1 日 1 回投与される、態様 1 に記載の方法。

50

[態様 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。

[態様 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。

[態様 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。

[態様 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。

[態様 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。

[態様 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。

[態様 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。

[態様 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。

[態様 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。

[態様 2 4]

潰瘍性大腸炎、クローン病及びセリア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、

10

20

30

40

50

{ 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総血漿濃度が、約 1 5 0 n M 未満である、前記方法。

[態様 2 5]

対象における潰瘍性大腸炎、クローン病、及びセリア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 2 5 m g ~ 約 1 0 0 m g 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、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 - [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