

【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5年11月27日(2023.11.27)

【国際公開番号】WO2020/154626

【公表番号】特表2022-518507(P2022-518507A)

【公表日】令和4年3月15日(2022.3.15)

【年通号数】公開公報(特許)2022-046

【出願番号】特願2021-542397(P2021-542397)

【国際特許分類】

A 6 1 K 3 9 / 3 9 5 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

A 6 1 P 1 3 / 0 2 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

A 6 1 P 3 7 / 0 6 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

C 0 7 K 1 6 / 1 8 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

【 F I 】

A 6 1 K 3 9 / 3 9 5 U

A 6 1 P 1 3 / 0 2

A 6 1 P 3 7 / 0 6

C 0 7 K 1 6 / 1 8 Z N A

10

20

【手続補正書】

【提出日】令和5年11月16日(2023.11.16)

【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】

18歳以上のヒト成人患者において非典型溶血性尿毒症症候群(aHUS)を処置する方法における使用のための、抗C5抗体を含む組成物であって、前記抗C5抗体がラブリズマブであり、前記組成物が、

30

(a) 1日目に1回、40kg<math>< 60\text{kg}</math>の体重の患者に対して2400mgの抗C5抗体、60kg<math>< 100\text{kg}</math>の体重の患者に対して2700mgの抗C5抗体、または100kgの体重の患者に対して3000mgの抗C5抗体の用量で；及び

(b) 15日目、及びその後8週間毎に、40kg<math>< 60\text{kg}</math>の体重の患者に対して3000mgの抗C5抗体、60kg<math>< 100\text{kg}</math>の体重の患者に対して3300mgの抗C5抗体、または100kgの体重の患者に対して3600mgの抗C5抗体の用量で

静脈内投与される、組成物。

40

【請求項2】

前記患者が、エクリズマブで以前に処置されたことがある、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

(a) 前記処置が、前記患者の最後の用量のエクリズマブの少なくとも2週間後に開始する、

(b) 前記患者が、前記処置の1日目の前に少なくとも6ヶ月間エクリズマブで処置されたことがある、および/または

(c) 前記患者が、2週間毎に900mgの用量のエクリズマブで以前に処置されたことがある、

請求項2に記載の組成物。

50

## 【請求項 4】

前記組成物が、 $40\text{ kg} \sim < 60\text{ kg}$ の体重の患者に、  
 (a) 1日目に1回、 $2400\text{ mg}$ の抗C5抗体の用量で；及び  
 (b) 15日目、及びその後8週間毎に、 $3000\text{ mg}$ の抗C5抗体の用量で  
 投与される、請求項1から3のいずれか1項に記載の組成物。

## 【請求項 5】

前記組成物が、 $60\text{ kg} \sim < 100\text{ kg}$ の体重の患者に、  
 (a) 1日目に1回、 $2700\text{ mg}$ の抗C5抗体の用量で；及び  
 (b) 15日目、及びその後8週間毎に、 $3300\text{ mg}$ の抗C5抗体の用量で  
 投与される、請求項1から3のいずれか1項に記載の組成物。

10

## 【請求項 6】

前記組成物が、 $100\text{ kg}$ の体重の患者に、  
 (a) 1日目に1回、 $3000\text{ mg}$ の抗C5抗体の用量で；及び  
 (b) 15日目、及びその後8週間毎に、 $3600\text{ mg}$ の抗C5抗体の用量で  
 投与される、請求項1から3のいずれか1項に記載の組成物。

## 【請求項 7】

(a) 前記処置が、前記処置の間、 $100\text{ }\mu\text{g}/\text{mL}$ もしくはそれよりも高い、または  
 $200\text{ }\mu\text{g}/\text{mL}$ もしくはそれよりも高い前記抗C5抗体の血清トラフ濃度を維持する、  
 (b) 前記処置が、 $0.309\text{ }\mu\text{g}/\text{mL} \sim 0.5\text{ }\mu\text{g}/\text{mL}$ またはそれ未満の遊離C  
 5濃度を維持する、および/または  
 (c) 前記処置が、前記処置期間全体を通して、遊離C5濃度を99%よりも大きくも  
 しくは、 $99.5\%$ よりも大きく低減させる、  
 請求項1から6のいずれか1項に記載の組成物。

20

## 【請求項 8】

前記組成物が、前記処置の後に、最長2年間、8週間毎に $3000\text{ mg}$ 、 $3300\text{ mg}$   
 または $3600\text{ mg}$ の抗C5抗体の用量で投与される、請求項1から7のいずれか1項に  
 記載の組成物。

## 【請求項 9】

前記処置が、合計で26週間の処置である、請求項1から8のいずれか1項に記載の組  
 成物。

30

## 【請求項 10】

前記処置が、  
 (a) 終末補体阻害を結果としてもたらず、  
 (b) 乳酸デヒドロゲナーゼ(LDH)レベルによって評価されるベースラインと比べて  
 溶血の低減を結果としてもたらず、  
 (c) LDHレベルの正常化を結果としてもたらず、および/または  
 (d) 前記処置期間の間に、ブレイクスルー溶血の消失を結果としてもたらず、  
 請求項1から9のいずれか1項に記載の組成物。

## 【請求項 11】

前記処置が、  
 (a) 遊離ヘモグロビン、ハプトグロビン、網状赤血球数、PNH赤血球(RBC)クロ  
 ーン及びD-ダイマーからなる群より選択される溶血関連の血液学的バイオマーカーの正  
 常レベルに向かうシフトを生じる、  
 (b) Ba因子、可溶性腫瘍壊死因子受容体1[sTNFR1]、可溶性血管接着分子  
 1[sVCAM1]、トロンボモジュリン、D-ダイマー及びシスタチンCの正常レベル  
 に向かうシフトを生じる、  
 (c) ベースラインと比べて、ヘモグロビン安定化における増加を生じる、  
 (d) ベースラインと比べて、輸血の必要性における低減を生じる、  
 (e) 主要な血管系有害事象(MAVE)における低減を生じる、ならびに/または  
 (f) 慢性疾患治療の機能的評価(FACIT)-疲労スケール、バージョン4及び欧州

40

50

がん研究治療機関の生活の質アンケート - コア 30 スケールを介して評価される、生活の質におけるベースラインからの変化を生じる、  
請求項 1 から 10 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 12】

前記処置が、ベースラインと比べて、重症高血圧症、タンパク尿症、尿毒症、嗜眠、疲労、易刺激性、血小板減少症、細血管異常性溶血性貧血及び腎機能障害における低減または停止からなる群より選択される少なくとも 1 つの治療効果を生じる、請求項 1 から 11 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 13】

前記処置が、  
(a) 血小板正常化を結果としてもたらす、  
(b) 血清クレアチニンにおけるベースラインからの 25% の改善を結果としてもたらす、  
(c) 完全な TMA 奏効を結果としてもたらす、および/または  
(d) 改変された完全な TMA 奏効を結果としてもたらす、  
請求項 1 から 12 のいずれか 1 項に記載の組成物。

10

【請求項 14】

前記患者の慢性腎疾患 (CKD) が、処置の開始後に、1 つまたは複数のステージまで改善する、請求項 1 から 13 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 15】

前記処置が、  
(a) eGFR (推定糸球体濾過量) の正常レベルに向かうシフトを結果としてもたらす、および/または  
(b)  $> 0.94$  の EQ-5D-3L 米国時間トレードオフ値セット (US TTO) を結果としてもたらす、  
請求項 1 から 14 のいずれか 1 項に記載の組成物。

20

30

40

50