

【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6月13日(2023.6.13)

【国際公開番号】WO2020/247774

【公表番号】特表2022-535127(P2022-535127A)

【公表日】令和4年8月4日(2022.8.4)

【年通号数】公開公報(特許)2022-142

【出願番号】特願2021-572103(P2021-572103)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/712(2006.01)

A 6 1 P 1/16(2006.01)

A 6 1 P 11/00(2006.01)

A 6 1 K 31/713(2006.01)

C 1 2 N 15/113(2010.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

10

【F I】

A 6 1 K 31/712

A 6 1 P 1/16 Z N A

A 6 1 P 11/00

A 6 1 K 31/713

C 1 2 N 15/113 Z

C 1 2 N 15/12

20

【手続補正書】

【提出日】令和5年6月5日(2023.6.5)

【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

30

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

表2に記載のA A T R N A i 原薬を含む、アルファ - 1アンチトリプシン欠乏症 ( A A T D ) の治療を必要とするヒト対象におけるアルファ - 1アンチトリプシン欠乏症 ( A A T D ) を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物が、前記対象に対して、前記 A A T R N A i 原薬の約 5 m g ~ 約 3 0 0 m g の用量で投与され、前記医薬組成物が毎月 1 回、皮下注射によって投与される、医薬組成物。

【請求項2】

表2に記載のA A T R N A i 原薬を含む、アルファ - 1アンチトリプシン欠乏症 ( A A T D ) の治療を必要とするヒト対象におけるアルファ - 1アンチトリプシン欠乏症 ( A A T D ) を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物が、前記対象に対して、前記 A A T R N A i 原薬の約 5 m g ~ 約 3 0 0 m g の用量で投与され、前記医薬組成物が3 か月に 1 回、皮下注射によって投与される、医薬組成物。

40

【請求項3】

表2に記載のA A T R N A i 原薬を含む、アルファ - 1アンチトリプシン欠乏症 ( A A T D ) の治療を必要とするヒト対象におけるアルファ - 1アンチトリプシン欠乏症 ( A A T D ) を治療するための医薬組成物であって、前記対象に対して、前記医薬組成物の最初の投与が、前記 A A T R N A i 原薬約 5 m g ~ 約 3 0 0 m g の用量で施用され、

50

前記対象に対して、前記医薬組成物の2回目の投与が、前記最初の投与の約1か月後に施用され、及び

前記対象に対して、前記医薬組成物の3回目の投与が、前記2回目の投与の約3か月後に施用される、医薬組成物。

【請求項4】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約25mg～約300mgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項5】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約25mg～約200mgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

10

【請求項6】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約100mg～約200mgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項7】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約25mgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項8】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約35mgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項9】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約100mgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

20

【請求項10】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約200mgである、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項11】

前記AAT RNAi原薬の前記用量が、約200mg以下である、請求項1～3のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項12】

AATDによって引き起こされる状態または疾患が、肝疾患である、請求項1～11のいずれか1項に記載の医薬組成物。

30

【請求項13】

前記肝疾患が、慢性肝炎、肝硬変、肝細胞癌のリスクの増加、高トランスアミナーゼ血症、胆汁うっ滞、線維化、または劇症肝不全である、請求項12に記載の医薬組成物。

【請求項14】

前記対象が、さらに、AATDの治療のためのさらなる治療薬を投与される、請求項1～13のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項15】

肺障害、肺気腫、または内因的に分泌されるAATタンパク質の欠乏によって引き起こされる他の肺疾患もしくは障害の治療のための治療薬を更に含む、請求項1～14のいずれか1項に記載の医薬組成物。

40

【請求項16】

前記治療薬が、ヒトAATタンパク質、精製ヒトアルファ-1プロテアーゼ阻害物質、または組み換えAATタンパク質を含む、請求項15に記載の医薬組成物。

【請求項17】

前記医薬組成物が、キット、容器、パック、ディスペンサー、プレフィルドシリンジ、またはバイアルに包装される、請求項1～16のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項18】

前記医薬組成物が、表3に記載の製剤化AAT RNAi原薬を含むか、それからなるか、またはそれから本質的になる、請求項1～17のいずれか1項に記載の医薬組成物。

50

## 【請求項 19】

さらに、前記 3 回目の投与後にさらなる投与が施用されることを含む、請求項 3 に記載の医薬組成物であって、前記さらなる投与が、約 3 か月間隔で施用される、医薬組成物。

## 【請求項 20】

前記医薬組成物の 1 回以上の投与の施用が、前記対象によって行われる、請求項 1 ~ 19 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

## 【請求項 21】

前記医薬組成物の 1 回以上の投与の施用が、医療専門家によって行われる、請求項 1 ~ 19 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

## 【請求項 22】

アルファ - 1 アンチトリプシン欠乏症 (AATD) の治療を必要とするヒト対象におけるアルファ - 1 アンチトリプシン欠乏症 (AATD) を治療するための医薬の製造のための、表 2 に記載の AAT RNAi 原薬の使用であって、前記対象に対して、表 2 に記載の AAT RNAi 原薬が約 5 mg ~ 約 300 mg の用量で投与され、前記医薬が毎月 1 回、皮下注射によって投与される、使用。

10

## 【請求項 23】

アルファ - 1 アンチトリプシン欠乏症 (AATD) の治療を必要とするヒト対象におけるアルファ - 1 アンチトリプシン欠乏症 (AATD) を治療するための医薬の製造のための、表 2 に記載の AAT RNAi 原薬の使用であって、前記対象に対して、表 2 に記載の AAT RNAi 原薬が約 5 mg ~ 約 300 mg の用量で投与され、前記医薬が 3 か月に 1 回、皮下注射によって投与される、使用。

20

30

40

50