

【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10月3日(2022.10.3)

【国際公開番号】WO2020/069024

【公表番号】特表2022-502500(P2022-502500A)

【公表日】令和4年1月11日(2022.1.11)

【出願番号】特願2021-540397(P2021-540397)

【国際特許分類】

C 0 7 D 4 0 1 / 1 4 (2 0 0 6 . 0 1)

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

A 6 1 P 4 3 / 0 0 (2 0 0 6 . 0 1)

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

10

【F I】

C 0 7 D 4 0 1 / 1 4 C S P

A 6 1 K 3 1 / 5 0 6

A 6 1 P 4 3 / 0 0 1 1 1

A 6 1 K 9 / 1 0

【手続補正書】

20

【提出日】令和4年9月22日(2022.9.22)

【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

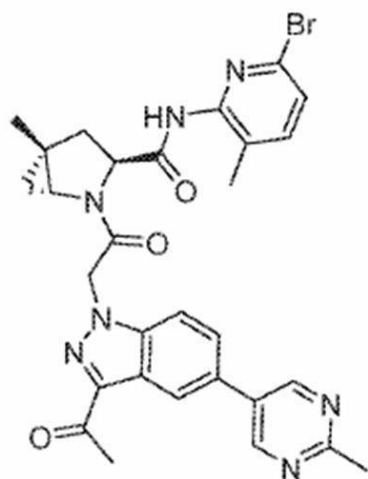
【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

【化13】

30



化合物3

40

16.2 ± 0.4 °、15.7 ± 0.4 °、4.5 ± 0.4 °、22.6 ± 0.4 °、17.4 ± 0.4 °、22.0 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、16.1 ± 0.4 °、21.1 ± 0.4 °、18.7 ± 0.4 °、18.3 ± 0.4 °、23.9 ± 0.4 ° 及び 27.5 ± 0.4 ° から選択される、少なくとも3つの2θ値を含む、粉末X線回折(PXRD)パターンによって特性決定される、単離された化合物3の結晶形態B。

50

【請求項 2】

前記 P X R D パターンが、 $16.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $15.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $4.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $17.4 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $8.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $16.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $21.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $23.9 \pm 0.4^\circ$ 及び $27.5 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 4 つの 2 値を含む、請求項 1 に記載の単離された結晶形態。

【請求項 3】

前記 P X R D パターンが、 $16.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $15.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $4.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $17.4 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $8.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $16.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $21.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $23.9 \pm 0.4^\circ$ 及び $27.5 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 5 つの 2 値を含む、請求項 1 に記載の単離された結晶形態。

10

【請求項 4】

前記 P X R D パターンが、 $16.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $15.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $4.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $17.4 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $8.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $16.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $21.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $23.9 \pm 0.4^\circ$ 及び $27.5 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 6 つの 2 値を含む、請求項 1 に記載の単離された結晶形態。

【請求項 5】

前記 P X R D パターンが、 $16.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $15.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $4.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $17.4 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $8.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $16.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $21.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $18.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $23.9 \pm 0.4^\circ$ 及び $27.5 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 7 つの 2 値を含む、請求項 1 に記載の単離された結晶形態。

20

【請求項 6】

前記 P X R D パターンが、少なくとも $16.2 \pm 0.4^\circ$ の 2 値を含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

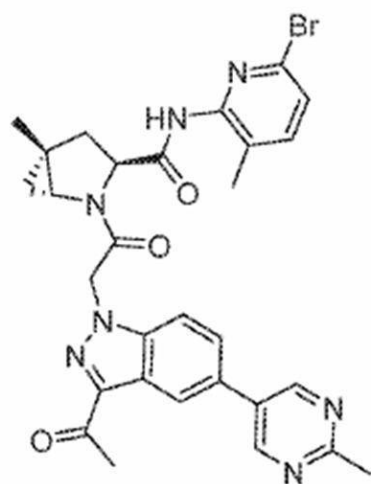
【請求項 7】

前記 P X R D パターンが、少なくとも $15.7 \pm 0.4^\circ$ の 2 値を含む、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

30

【請求項 8】

【化 1 4】



化合物 3

40

$2.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $3.6 \pm 0.4^\circ$ 及び $3.8 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 1 つの 2 値を含む、粉末 X 線回折 (P X R D) パターンによって特性決定される、単

50

離された化合物 3 の結晶形態 A。

【請求項 9】

前記 P X R D パターンが、 $2.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $3.6 \pm 0.4^\circ$ 及び $3.8 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 2 つの 2 値を含む、請求項 8 に記載の単離された結晶形態。

【請求項 10】

前記 P X R D パターンが、 $2.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $3.6 \pm 0.4^\circ$ 及び $3.8 \pm 0.4^\circ$ から選択される 2 値を含む、請求項 8 に記載の単離された結晶形態。

【請求項 11】

前記 P X R D パターンが、 $9.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $11.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $9.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $7.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $6.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $6.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.4 \pm 0.4^\circ$ 及び $4.2 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 6 つの 2 値を含む、請求項 8 に記載の単離された結晶形態。

【請求項 12】

前記 P X R D パターンが、 $9.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $11.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $9.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $7.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $6.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $6.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.7 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.6 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.4 \pm 0.4^\circ$ 及び $4.2 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 7 つの 2 値を含む、請求項 8 に記載の単離された結晶形態。

【請求項 13】

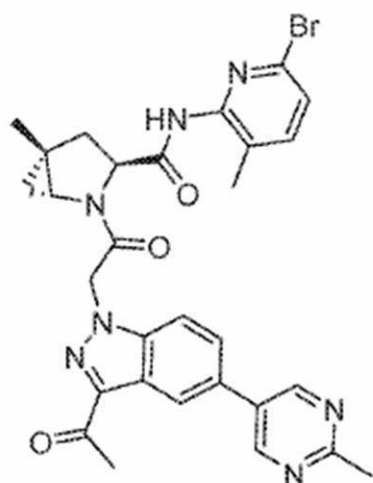
前記 P X R D パターンが、少なくとも $2.6 \pm 0.4^\circ$ の 2 値を含む、請求項 8 ~ 12 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

【請求項 14】

前記 P X R D パターンが、少なくとも $3.6 \pm 0.4^\circ$ の 2 値を含む、請求項 8 ~ 13 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

【請求項 15】

【化 15】



化合物 3

$15.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $7.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $23.8 \pm 0.4^\circ$ 、 $7.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $19.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $8.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $26.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.8 \pm 0.4^\circ$ 、 $21.7 \pm 0.4^\circ$ 及び $24.9 \pm 0.4^\circ$ から選択される、少なくとも 3 つの 2 値を含む、粉末 X 線回折 (P X R D) パターンによって特性決定される、化合物 3 の単離された結晶形態 M。

【請求項 16】

前記 P X R D パターンが、 $15.0 \pm 0.4^\circ$ 、 $7.5 \pm 0.4^\circ$ 、 $23.8 \pm 0.4^\circ$ 、 $7.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $19.1 \pm 0.4^\circ$ 、 $5.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $8.3 \pm 0.4^\circ$ 、 $26.2 \pm 0.4^\circ$ 、 $22.8 \pm 0.4^\circ$ 、 $21.7 \pm 0.4^\circ$ 及び $24.9 \pm 0.4^\circ$ から選択される、請求項 8 に記載の単離された結晶形態。

6.2 ± 0.4 °、22.8 ± 0.4 °、21.7 ± 0.4 °及び24.9 ± 0.4 °から選択される、少なくとも4つの2θ値を含む、請求項15に記載の単離された結晶形態。

【請求項17】

前記PXRDパターンが、15.0 ± 0.4 °、7.5 ± 0.4 °、23.8 ± 0.4 °、7.2 ± 0.4 °、19.1 ± 0.4 °、5.2 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、26.2 ± 0.4 °、22.8 ± 0.4 °、21.7 ± 0.4 °及び24.9 ± 0.4 °から選択される、少なくとも5つの2θ値を含む、請求項15に記載の単離された結晶形態。

【請求項18】

前記PXRDパターンが、15.0 ± 0.4 °、7.5 ± 0.4 °、23.8 ± 0.4 °、7.2 ± 0.4 °、19.1 ± 0.4 °、5.2 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、26.2 ± 0.4 °、22.8 ± 0.4 °、21.7 ± 0.4 °及び24.9 ± 0.4 °から選択される、少なくとも6つの2θ値を含む、請求項15に記載の単離された結晶形態。

10

【請求項19】

前記PXRDパターンが、15.0 ± 0.4 °、7.5 ± 0.4 °、23.8 ± 0.4 °、7.2 ± 0.4 °、19.1 ± 0.4 °、5.2 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、26.2 ± 0.4 °、22.8 ± 0.4 °、21.7 ± 0.4 °及び24.9 ± 0.4 °から選択される、少なくとも7つの2θ値を含む、請求項15に記載の単離された結晶形態。

20

【請求項20】

前記PXRDパターンが、少なくとも15.0 ± 0.4 °の2θ値を含む、請求項15～19のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

【請求項21】

前記PXRDパターンが、少なくとも7.5 ± 0.4 °の2θ値を含む、請求項15～19のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

【請求項22】

前記ピークが±0.3°2θ内にある、請求項1～21のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

30

【請求項23】

前記ピークが±0.2°2θ内にある、請求項1～21のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

【請求項24】

固体剤形送達のための薬学的に許容される賦形剤中に、請求項1～23のいずれか一項に記載の前記単離された結晶形態を含む、医薬組成物。

【請求項25】

補体因子D介在性障害の治療のための組成物であって、前記組成物が、請求項1～23のいずれか一項に記載の単離された結晶形態またはその医薬組成物を含む、組成物。

【請求項26】

前記対象が、ヒトである、請求項25に記載の組成物。

40

【請求項27】

補体因子D介在性障害の治療を必要とする対象の前記治療で使用するための、所望により固体剤形送達のための薬学的に許容される賦形剤中の、請求項1～23のいずれか一項に記載の単離された結晶形態を含む、組成物。

【請求項28】

前記対象がヒトである、請求項27に記載の組成物。

【請求項29】

補体因子D介在性障害の治療を必要とする対象の前記治療のための薬剤の製造における、所望により固体剤形送達のための薬学的に許容される賦形剤中の、請求項1～23のい

50

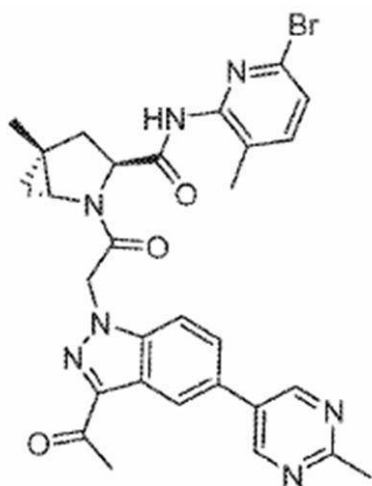
ずれか一項に記載の単離された結晶形態またはその医薬組成物の使用。

【請求項 30】

前記対象がヒトである、請求項 29 に記載の使用。

【請求項 31】

【化 16】



化合物 3

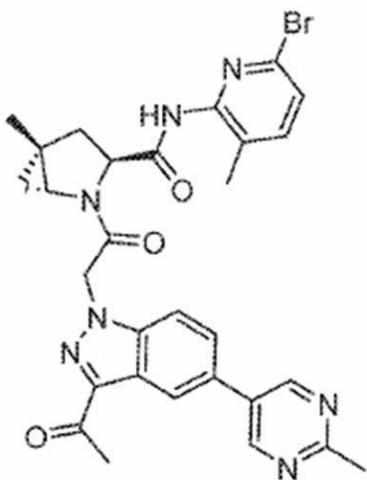
10

20

化合物 3 の形態 A を溶媒に溶解させ、それを噴霧乾燥して、非晶質化合物 3 を形成することを含む、非晶質化合物 3 を調製するための処理。

【請求項 32】

【化 17】



化合物 3

30

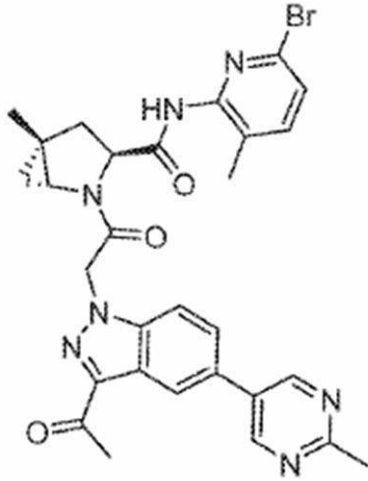
40

化合物 3 の形態 B を溶媒に溶解させ、それを噴霧乾燥して、非晶質化合物 3 を形成することを含む、非晶質化合物 3 を調製するための処理。

【請求項 33】

50

【化 1 8】



化合物 3

10

化合物 3 の形態 M を溶媒に溶解させ、それを噴霧乾燥して、非晶質化合物 3 を形成することを含み、非晶質化合物 3 を調製するための処理。

【手続補正 2】

20

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 3 7 3

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 3 7 3】

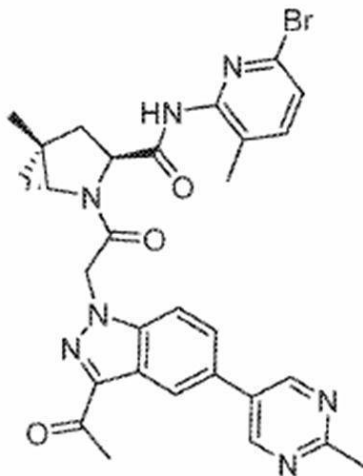
本明細書は、本発明の実施形態を参照して説明されている。しかしながら、当業者であれば、以下の特許請求の範囲に記載されるように、本発明の範囲から逸脱することなく、様々な修正及び変更を行うことができることを理解している。したがって、本明細書は、限定的な意味ではなく例示的な意味で見なされるべきであり、そのようなすべての修正は、本発明の範囲内に含まれることが意図されている。

30

本発明は、例えば、以下の項目を提供する。

(項目 1)

【化 1 3】



化合物 3

40

1 6 . 2 ± 0 . 4 ° 、 1 5 . 7 ± 0 . 4 ° 、 4 . 5 ± 0 . 4 ° 、 2 2 . 6 ± 0 . 4 ° 、

50

17.4 ± 0.4 °、22.0 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、16.1 ± 0.4 °、21.1 ± 0.4 °、18.7 ± 0.4 °、18.3 ± 0.4 °、23.9 ± 0.4 ° 及び 27.5 ± 0.4 ° から選択される、少なくとも3つの2 値を含む、粉末X線回折 (P X R D) パターンによって特性決定される、単離された化合物3の結晶形態B。

(項目2)

前記P X R Dパターンが、16.2 ± 0.4 °、15.7 ± 0.4 °、4.5 ± 0.4 °、22.6 ± 0.4 °、17.4 ± 0.4 °、22.0 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、16.1 ± 0.4 °、21.1 ± 0.4 °、18.7 ± 0.4 °、18.3 ± 0.4 °、23.9 ± 0.4 ° 及び 27.5 ± 0.4 ° から選択される、少なくとも4つの2 値を含む、項目1に記載の単離された結晶形態。

10

(項目3)

前記P X R Dパターンが、16.2 ± 0.4 °、15.7 ± 0.4 °、4.5 ± 0.4 °、22.6 ± 0.4 °、17.4 ± 0.4 °、22.0 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、16.1 ± 0.4 °、21.1 ± 0.4 °、18.7 ± 0.4 °、18.3 ± 0.4 °、23.9 ± 0.4 ° 及び 27.5 ± 0.4 ° から選択される、少なくとも5つの2 値を含む、項目1に記載の単離された結晶形態。

(項目4)

前記P X R Dパターンが、16.2 ± 0.4 °、15.7 ± 0.4 °、4.5 ± 0.4 °、22.6 ± 0.4 °、17.4 ± 0.4 °、22.0 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、16.1 ± 0.4 °、21.1 ± 0.4 °、18.7 ± 0.4 °、18.3 ± 0.4 °、23.9 ± 0.4 ° 及び 27.5 ± 0.4 ° から選択される、少なくとも6つの2 値を含む、項目1に記載の単離された結晶形態。

20

(項目5)

前記P X R Dパターンが、16.2 ± 0.4 °、15.7 ± 0.4 °、4.5 ± 0.4 °、22.6 ± 0.4 °、17.4 ± 0.4 °、22.0 ± 0.4 °、8.3 ± 0.4 °、16.1 ± 0.4 °、21.1 ± 0.4 °、18.7 ± 0.4 °、18.3 ± 0.4 °、23.9 ± 0.4 ° 及び 27.5 ± 0.4 ° から選択される、少なくとも7つの2 値を含む、項目1に記載の単離された結晶形態。

(項目6)

前記P X R Dパターンが、少なくとも16.2 ± 0.4 °の2 値を含む、項目1~5のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

30

(項目7)

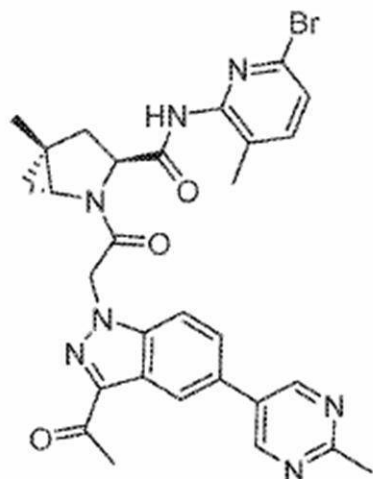
前記P X R Dパターンが、少なくとも15.7 ± 0.4 °の2 値を含む、項目1~6のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

(項目8)

40

50

【化 1 5】



化合物 3

10

15.0 ± 0.4°, 7.5 ± 0.4°, 23.8 ± 0.4°, 7.2 ± 0.4°, 19.1 ± 0.4°, 5.2 ± 0.4°, 8.3 ± 0.4°, 26.2 ± 0.4°, 22.8 ± 0.4°, 21.7 ± 0.4° 及び 24.9 ± 0.4° から選択される、少なくとも 3 つの 2θ 値を含む、粉末 X 線回折 (PXRD) パターンによって特性決定される、化合物 3 の単離された結晶形態 M。

20

(項目 16)

前記 PXRD パターンが、15.0 ± 0.4°, 7.5 ± 0.4°, 23.8 ± 0.4°, 7.2 ± 0.4°, 19.1 ± 0.4°, 5.2 ± 0.4°, 8.3 ± 0.4°, 26.2 ± 0.4°, 22.8 ± 0.4°, 21.7 ± 0.4° 及び 24.9 ± 0.4° から選択される、少なくとも 4 つの 2θ 値を含む、項目 15 に記載の単離された結晶形態。

(項目 17)

前記 PXRD パターンが、15.0 ± 0.4°, 7.5 ± 0.4°, 23.8 ± 0.4°, 7.2 ± 0.4°, 19.1 ± 0.4°, 5.2 ± 0.4°, 8.3 ± 0.4°, 26.2 ± 0.4°, 22.8 ± 0.4°, 21.7 ± 0.4° 及び 24.9 ± 0.4° から選択される、少なくとも 5 つの 2θ 値を含む、項目 15 に記載の単離された結晶形態。

30

(項目 18)

前記 PXRD パターンが、15.0 ± 0.4°, 7.5 ± 0.4°, 23.8 ± 0.4°, 7.2 ± 0.4°, 19.1 ± 0.4°, 5.2 ± 0.4°, 8.3 ± 0.4°, 26.2 ± 0.4°, 22.8 ± 0.4°, 21.7 ± 0.4° 及び 24.9 ± 0.4° から選択される、少なくとも 6 つの 2θ 値を含む、項目 15 に記載の単離された結晶形態。

(項目 19)

前記 PXRD パターンが、15.0 ± 0.4°, 7.5 ± 0.4°, 23.8 ± 0.4°, 7.2 ± 0.4°, 19.1 ± 0.4°, 5.2 ± 0.4°, 8.3 ± 0.4°, 26.2 ± 0.4°, 22.8 ± 0.4°, 21.7 ± 0.4° 及び 24.9 ± 0.4° から選択される、少なくとも 7 つの 2θ 値を含む、項目 15 に記載の単離された結晶形態。

40

(項目 20)

前記 PXRD パターンが、少なくとも 15.0 ± 0.4° の 2θ 値を含む、項目 15 ~ 19 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

(項目 21)

前記 PXRD パターンが、少なくとも 7.5 ± 0.4° の 2θ 値を含む、項目 15 ~ 19 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

(項目 22)

前記ピークが ± 0.3° 2θ 内にある、項目 1 ~ 21 のいずれか一項に記載の単離され

50

た結晶形態。

(項目 2 3)

前記ピークが $\pm 0.2^\circ 2\theta$ 内にある、項目 1 ~ 2 1 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

(項目 2 4)

固体剤形送達のための薬学的に許容される賦形剤中に、項目 1 ~ 2 3 のいずれか一項に記載の前記単離された結晶形態を含む、医薬組成物。

(項目 2 5)

補体因子 D 介在性障害の治療のための方法であって、前記方法が、それを必要とする対象に、項目 1 ~ 2 3 のいずれか一項に記載の治療上有効な量の単離された結晶形態またはその医薬組成物を、所望により固形剤形送達のための薬学的に許容される賦形剤中で、投与することを含む、前記方法。

10

(項目 2 6)

前記対象が、ヒトである、項目 2 5 に記載の方法。

(項目 2 7)

補体因子 D 介在性障害の治療を必要とする対象の前記治療で使用するための、所望により固体剤形送達のための薬学的に許容される賦形剤中の、項目 1 ~ 2 3 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態。

(項目 2 8)

前記対象がヒトである、項目 2 7 に記載の単離された結晶形態。

20

(項目 2 9)

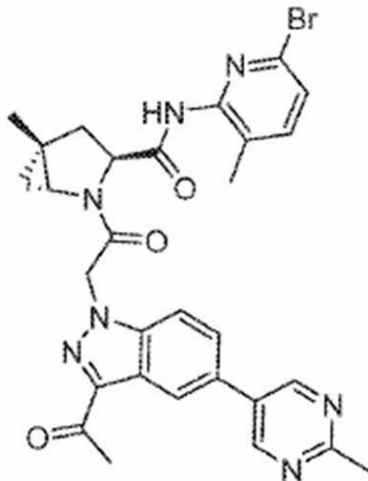
補体因子 D 介在性障害の治療を必要とする対象の前記治療のための薬剤の製造における、所望により固体剤形送達のための薬学的に許容される賦形剤中の、項目 1 ~ 2 3 のいずれか一項に記載の単離された結晶形態またはその医薬組成物の使用。

(項目 3 0)

前記対象がヒトである、項目 2 9 に記載の使用。

(項目 3 1)

【化 1 6】



30

化合物 3

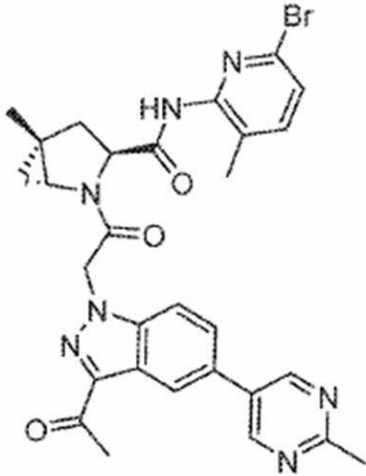
40

化合物 3 の形態 A を溶媒に溶解させ、それを噴霧乾燥して、非晶質化合物 3 を形成することを含む、非晶質化合物 3 を調製するための処理。

(項目 3 2)

50

【化 1 7】



化合物 3

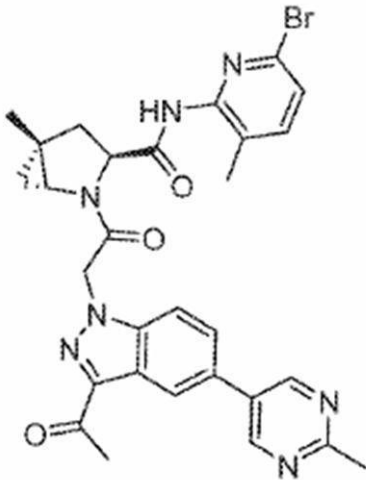
10

化合物 3 の形態 B を溶媒に溶解させ、それを噴霧乾燥して、非晶質化合物 3 を形成することを含み、非晶質化合物 3 を調製するための処理。

(項目 3 3)

20

【化 1 8】



化合物 3

30

化合物 3 の形態 M を溶媒に溶解させ、それを噴霧乾燥して、非晶質化合物 3 を形成することを含み、非晶質化合物 3 を調製するための処理。

40

50