

【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6年5月1日(2024.5.1)

【国際公開番号】WO2021/216936

【公表番号】特表2023-524912(P2023-524912A)

【公表日】令和5年6月13日(2023.6.13)

【年通号数】公開公報(特許)2023-109

【出願番号】特願2023-509462(P2023-509462)

【国際特許分類】

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

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

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

A 6 1 K 4 5 / 0 0 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

【 F I 】

A 6 1 K 3 1 / 5 3

A 6 1 P 3 5 / 0 2

A 6 1 P 4 3 / 0 0 1 2 1

A 6 1 K 4 5 / 0 0

10

20

【手続補正書】

【提出日】令和6年4月19日(2024.4.19)

【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】

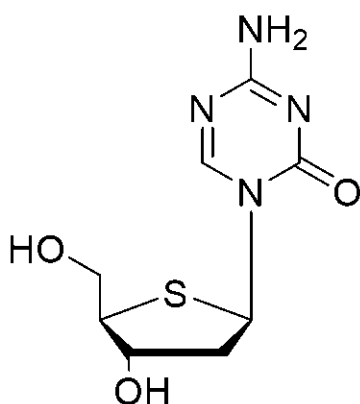
【特許請求の範囲】

【請求項1】

以下の構造を有する化合物と、

【化1】

30



40

薬学的に許容され得る担体と、を含む、血液がんの治療を必要とするヒト対象において血液がんを治療するための医薬組成物であって、

約 1 . 2 5 m g / m<sup>2</sup> ~ 約 3 4 . 5 1 m g / m<sup>2</sup> 以下の前記化合物の有効量で前記ヒト対象に投与されるものであり、

前記医薬組成物が、経口投与のために製剤化されている、医薬組成物。

【請求項2】

前記有効量が、約 5 m g / m<sup>2</sup> ~ 約 3 0 m g / m<sup>2</sup> 以下である、請求項1に記載の医薬

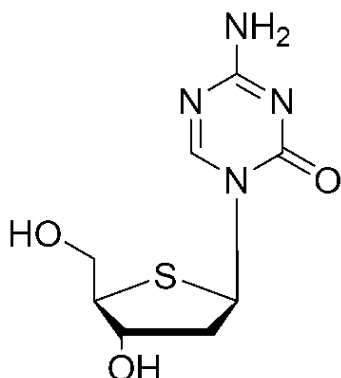
50

組成物。

【請求項 3】

血液がんの治療を必要とするヒト対象において血液がんを治療するための医薬組成物であって、以下の構造を有する化合物を含み、

【化 2】



10

24時間の期間当たり約1.25 mg / m<sup>2</sup> ~ 約34.51 mg / m<sup>2</sup>以下の前記化合物の有効量で前記ヒト対象に投与されるものであり、

(a) 約4日~約6日の期間にわたって、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第1の治療サイクルと、

20

(b) 約4日~約6日の期間にわたって、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第2の治療サイクルと、

(c) 少なくとも約8日の期間にわたって、前記化合物の投与を控えることを含む、休薬期間と、

を含む、治療過程を介して投与されるものであり、

前記血液がんが、多発性骨髄腫、白血病、骨髄異形成症候群、又は孤立性骨髄腫である、医薬組成物。

【請求項 4】

前記治療過程が、ステップ(a)の後でステップ(b)の前に、約1日~約3日の期間にわたって前記化合物の投与を控えることを含むさらなる休薬期間をさらに含む、請求項3に記載の医薬組成物。

30

【請求項 5】

前記有効量が、24時間の期間当たり約5 mg / m<sup>2</sup> ~ 約30 mg / m<sup>2</sup>以下である、請求項3又は4に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

前記有効量が、単回用量で投与される、請求項3~5のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

前記有効量が、複数の用量を介して投与される、請求項3~5のいずれか1項に記載の医薬組成物。

40

【請求項 8】

前記有効量が、ある日においては単回用量を介して投与され、かつ別の日においては複数の用量を介して投与される、請求項3~5のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項 9】

(a) 約5日の期間にわたって1日当たり1回、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第1の治療サイクルと、

(b) 約2日の期間にわたって、前記化合物の投与を控えることを含む、第1の休薬期間と、

(c) 約5日の期間にわたって1日当たり1回、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第2の治療サイクルと、

50

(d) 少なくとも約9日の期間にわたって、前記化合物の投与を控えることを含む、第2の休薬期間  
とを含む、治療過程を介して投与されるものである、請求項3～5のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項10】

前記白血病が、急性リンパ性白血病、急性骨髄性白血病、慢性リンパ性白血病、又は慢性骨髄性白血病である、請求項3～9のいずれか1項に記載の方法。

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0140

10

【補正方法】変更

【補正の内容】

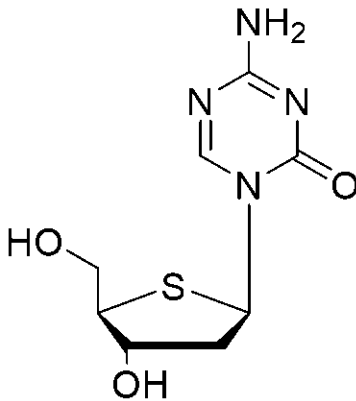
【0140】

本発明の趣旨又は範囲から逸脱することなく、本発明の上記の例示的な実施形態に様々な修正が加えられ得ることが、当業者に明らかになるであろう。したがって、本発明は、それらが添付の特許請求の範囲及びその等価物の範囲内であるという条件で、全てのそのような修正を包含することが意図される。

本発明のまた別の態様は、以下のとおりであってもよい。

〔1〕以下の構造を有する治療有効量の化合物と、

20



30

薬学的に許容され得る担体と、を含む、医薬組成物であって、

前記治療有効量が、約5 mg/m<sup>2</sup>～約70 mg/m<sup>2</sup>以下であり、

前記医薬組成物が、経口投与のために製剤化されている、医薬組成物。

〔2〕前記治療有効量が、約5 mg/m<sup>2</sup>～約35 mg/m<sup>2</sup>以下である、前記〔1〕に記載の医薬組成物。

〔3〕前記治療有効量が、約5 mg/m<sup>2</sup>～約10 mg/m<sup>2</sup>以下である、前記〔1〕に記載の医薬組成物。

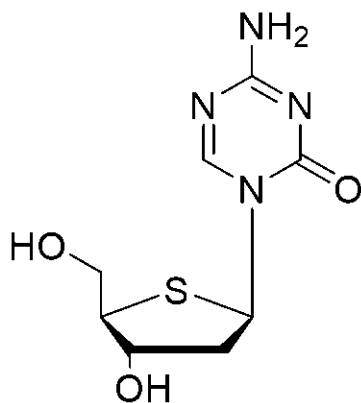
〔4〕前記治療有効量が、約35 mg/m<sup>2</sup>～約55 mg/m<sup>2</sup>以下である、前記〔1〕に記載の医薬組成物。

40

〔5〕前記治療有効量が、約55 mg/m<sup>2</sup>～約66 mg/m<sup>2</sup>以下である、前記〔1〕に記載の医薬組成物。

〔6〕血液がんの治療を必要とするヒト対象において血液がんを治療する方法であって、前記方法が、以下の構造を有する有効量の化合物を前記対象に投与することを含み、

50



10

前記有効量が、24時間の期間当たり約 $5\text{ mg/m}^2$ ~約 $70\text{ mg/m}^2$ 以下であり、それによって、前記対象において前記血液がんを治療する、方法。

〔7〕前記有効量が、24時間の期間当たり約 $5\text{ mg/m}^2$ ~約 $35\text{ mg/m}^2$ 以下である、前記〔6〕に記載の方法。

〔8〕前記有効量が、24時間の期間当たり約 $5\text{ mg/m}^2$ ~約 $10\text{ mg/m}^2$ 以下である、前記〔6〕に記載の方法。

〔9〕前記有効量が、24時間の期間当たり約 $35\text{ mg/m}^2$ ~約 $55\text{ mg/m}^2$ 以下である、前記〔6〕に記載の方法。

20

〔10〕前記有効量が、24時間の期間当たり約 $55\text{ mg/m}^2$ ~約 $66\text{ mg/m}^2$ 以下である、前記〔6〕に記載の方法。

〔11〕前記有効量が、治療有効量である、前記〔6〕に記載の方法。

〔12〕前記有効量が、複数の用量を介して投与される、前記〔6〕に記載の方法。

〔13〕前記有効量が、2回又は3回の用量を介して投与される、前記〔6〕に記載の方法。

〔14〕前記対象が、前記投与ステップの前に、血液がんの治療の必要性があると診断されている、前記〔6〕に記載の方法。

〔15〕血液がんの治療を必要とする対象を特定するステップを更に含む、前記〔6〕に記載の方法。

30

〔16〕投与することが、反復投与である、前記〔6〕に記載の方法。

〔17〕投与することが、

(a) 約4日~約6日の期間にわたって、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第1の治療サイクルと、

(b) 約1日~約3日の期間にわたって、前記化合物の投与を控えることを含む、第1の休薬期間と、

(c) 約4日~約6日の期間にわたって、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第2の治療サイクルと、

(d) 少なくとも約8日の期間にわたって、前記化合物の投与を控えることを含む、第2の休薬期間と、を含む、治療過程を介する、前記〔6〕に記載の方法。

40

〔18〕前記有効量が、単回用量で投与される、前記〔17〕に記載の方法。

〔19〕前記有効量が、複数の用量を介して投与される、前記〔17〕に記載の方法。

〔20〕投与することが、

(a) 約5日の期間にわたって1日当たり1回、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第1の治療サイクルと、

(b) 約2日の期間にわたって、前記化合物の投与を控えることを含む、第1の休薬期間と、

(c) 約5日の期間にわたって1日当たり1回、前記有効量の前記化合物を投与することを含む、第2の治療サイクルと、

50

( d ) 少なくとも約 9 日の期間にわたって、前記化合物の投与を控えることを含む、第 2 の休止期間

とを含む、治療過程を介する、前記〔 6 〕に記載の方法。

〔 2 1 〕前記有効量が、単回用量で投与される、前記〔 2 0 〕に記載の方法。

〔 2 2 〕前記有効量が、複数の用量を介して投与される、前記〔 2 0 〕に記載の方法。

〔 2 3 〕前記血液がんが、非ホジキンリンパ腫、ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫、白血病、リンパ腫、骨髄異形成症候群、急性リンパ性白血病、急性骨髄性白血病、慢性リンパ性白血病、慢性骨髄性白血病、又は孤立性骨髄腫である、前記〔 6 〕に記載の方法。

〔 2 4 〕有効量の前記〔 1 〕に記載の医薬組成物と、

( a ) 制御されていない細胞増殖の障害の治療に関連する少なくとも 1 種の薬剤、

( b ) 制御されていない細胞増殖の障害の治療に関連して前記組成物を投与するための説明書、及び

( c ) 制御されていない細胞増殖の障害を治療するための説明書

のうちの 1 つ以上と、を含む、キット。

〔 2 5 〕前記薬剤が、化学療法剤である、前記〔 2 4 〕に記載のキット。

〔 2 6 〕前記化学療法剤が、アルキル化剤、代謝拮抗剤、抗腫瘍性抗生物質剤、有糸分裂阻害剤、及び m T o r 阻害剤から選択される、前記〔 2 5 〕に記載のキット。

〔 2 7 〕前記抗腫瘍性抗生物質剤が、ドキソルビシン、ミトキサントロン、ブレオマイシン、ダウノルビシン、ダクチノマイシン、エピルビシン、イダルビシン、プリカマイシン、マイトマイシン、ペントスタチン、及びバルルビシン、又はそれらの薬学的に許容され得る塩から選択される、前記〔 2 6 〕に記載のキット。

〔 2 8 〕前記代謝拮抗剤が、ゲムシタビン、5 - フルオロウラシル、カベシタビン、ヒドロキシ尿素、メルカプトプリン、ペメトレキセド、フルダラビン、ネララビン、クラドリピン、クロファラビン、シタラビン、デシタビン、プラトレキサート、フロクスウリジン、メトトレキサート、及びチオグアニン、又はそれらの薬学的に許容され得る塩から選択される、前記〔 2 6 〕に記載のキット。

〔 2 9 〕前記アルキル化剤が、カルボプラチン、シスプラチン、シクロホスファミド、クロラムブシル、メルファラン、カルムスチン、ブスルファン、ロムスチン、ダカルバジン、オキサリプラチン、イホスファミド、メクロレタミン、テモゾロミド、チオテパ、ベンダムスチン、及びストレプトゾシン、又はそれらの薬学的に許容され得る塩から選択される、前記〔 2 6 〕に記載のキット。

〔 3 0 〕前記有糸分裂阻害剤が、イリノテカン、トポテカン、ルビテカン、カバジタキセル、ドセタキセル、パクリタキセル、エトプシド、ピンクリスチン、イキサベピロン、ビノレルピン、ピンラスチン、及びテニポシド、又はそれらの薬学的に許容され得る塩から選択される、前記〔 2 6 〕に記載のキット。

〔 3 1 〕前記 m T o r 阻害剤が、エベロリムス、シロリムス、及びテムシロリムス、又はそれらの薬学的に許容され得る塩、水和物、溶媒和物、若しくは多形体から選択される、前記〔 2 6 〕に記載のキット。

〔 3 2 〕前記医薬組成物及び前記薬剤が、共包装されている、前記〔 2 4 〕に記載のキット。

〔 3 3 〕前記医薬組成物及び前記薬剤が、連続的に投与されるものである、前記〔 2 4 〕に記載のキット。

〔 3 4 〕前記医薬組成物及び前記薬剤が、同時に投与されるものである、前記〔 2 4 〕に記載のキット。

〔 3 5 〕前記制御されていない細胞増殖の前記障害が、がんである、前記〔 2 4 〕に記載のキット。

10

20

30

40

50