

【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 1 年 11 月 14 日 (2019.11.14)

【公表番号】特表 2019-501867 (P2019-501867A)

【公表日】平成 31 年 1 月 24 日 (2019.1.24)

【年通号数】公開・登録公報 2019-003

【出願番号】特願 2018-517741 (P2018-517741)

【国際特許分類】

A 6 1 K	47/54	(2017.01)
C 0 7 K	7/64	(2006.01)
C 1 2 N	5/071	(2010.01)
A 6 1 P	37/06	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	7/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/10	(2006.01)
A 6 1 P	7/06	(2006.01)
A 6 1 P	25/04	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
A 6 1 P	11/06	(2006.01)
A 6 1 P	11/00	(2006.01)
A 6 1 P	27/02	(2006.01)
A 6 1 K	47/64	(2017.01)
A 6 1 K	47/60	(2017.01)
A 6 1 K	47/55	(2017.01)
A 6 1 K	47/65	(2017.01)
A 6 1 K	47/62	(2017.01)
A 6 1 K	38/10	(2006.01)
A 6 1 L	27/38	(2006.01)
A 6 1 L	27/36	(2006.01)
A 6 1 L	27/40	(2006.01)
A 6 1 L	27/54	(2006.01)
A 6 1 L	27/22	(2006.01)
A 0 1 N	1/02	(2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K	47/54	Z N A
C 0 7 K	7/64	
C 1 2 N	5/071	
A 6 1 P	37/06	
A 6 1 P	43/00	1 0 5
A 6 1 P	7/00	
A 6 1 P	9/10	
A 6 1 P	7/06	
A 6 1 P	25/04	
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	11/06	
A 6 1 P	11/00	
A 6 1 P	27/02	
A 6 1 K	47/64	
A 6 1 K	47/60	

A 6 1 K	47/55	
A 6 1 K	47/65	
A 6 1 K	47/62	
A 6 1 K	38/10	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 L	27/38	
A 6 1 L	27/36	3 2 0
A 6 1 L	27/36	3 0 0
A 6 1 L	27/36	4 1 0
A 6 1 L	27/40	
A 6 1 L	27/54	
A 6 1 L	27/22	
A 0 1 N	1/02	

## 【手続補正書】

【提出日】令和1年10月4日(2019.10.4)

## 【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】

1 以上のコンプスタチン類似体部分、およびクリアランス低減部分(CRM)として約10キロダルトン(kD)～約45kDの分子量を有するポリマーを含む長時間作用型コンプスタチン類似体(LACA)を含む補体介在障害の処置のための医薬組成物であって、LACAを約90mg/日～約360mg/日、場合により約180mg/日～約270mg/日の用量で皮下投与するためのものである、医薬組成物。

## 【請求項2】

1 以上のコンプスタチン類似体部分、およびクリアランス低減部分(CRM)として約10キロダルトン(kD)～約45kDの分子量を有するポリマーを含む長時間作用型コンプスタチン類似体(LACA)を含む補体介在眼障害の処置のための医薬組成物であって、LACAを約10mg～約20mg、場合により約15mgの用量で硝子体内投与するためのものである、医薬組成物。

## 【請求項3】

1日あたり1回または2回皮下投与される、請求項1に記載の医薬組成物。

## 【請求項4】

毎月または隔月硝子体内投与される、請求項2に記載の医薬組成物。

## 【請求項5】

LACAが2個のコンプスタチン類似体部分に結合したクリアランス低減部分を含み、ここで、

各コンプスタチン類似体部分がリシン残基またはC末端、N末端もしくは両端にリシン残基を含む配列により伸長している環状ペプチドを含み、ここで前記リシン残基は、オリゴ(エチレングリコール)部分を含む堅いスペーサーまたは柔軟なスペーサーによりペプチドの環状部分と分離され；

クリアランス低減部分が、各端がカルバメートまたはアミドによりコンプスタチン類似体部分の一方に結合しているポリマーを含み；そして、

スペーサーが8-アミノ-3,6-ジオキサオクタン酸(AEEAc)または11-アミノ-3,6,9-トリオキサウンデカン酸を含む、  
請求項1～4のいずれか一項に記載の医薬組成物。

**【請求項 6】**

環状ペプチドが配列番号 3 ~ 3 6、3 7 A、3 8 A、3 9 A または 4 0 A に示されるアミノ酸配列を含む、請求項 5 に記載の医薬組成物。

**【請求項 7】**

ポリマーがポリエチレングリコール (PEG) またはポリオキサゾリン (POZ) である、場合によりポリマーが約 4 0 kD の平均分子量を有する PEG である、請求項 5 または 6 に記載の医薬組成物。

**【請求項 8】**

障害が赤血球への補体介在損傷をもたらすものであり、場合により障害が発作性夜間ヘモグロビン尿症である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

**【請求項 9】**

補体介在眼障害が加齢黄斑変性症 (AMD)、場合により地図状萎縮または中間型 AMD である、請求項 2 に記載の医薬組成物。

**【請求項 10】**

約 1 0 キロダルトン (kD) ~ 約 4 5 kD の分子量を有するポリマーを含む LACA の単位用量であって、

i) 前記単位用量が硝子体内投与のためのものであり、前記単位用量の量が約 1 0 mg ~ 約 2 0 mg、場合により約 1 5 mg である；または

i i) 前記単位用量の量が約 4 5 mg ~ 約 3 6 0 mg、場合により約 1 8 0 mg ~ 約 2 7 0 mg である、単位用量。

**【請求項 11】**

LACA が 2 個のコンプスタチン類似体部分に結合したクリアランス低減部分を含み、ここで、

各コンプスタチン類似体部分がリシン残基または C 末端、N 末端もしくは両端にリシン残基を含む配列により伸長している環状ペプチドを含み、ここで前記リシン残基は、オリゴ(エチレングリコール)部分を含む堅いスペーサーまたは柔軟なスペーサーによりペプチドの環状部分と分離され；

クリアランス低減部分が、各端がカルバメートまたはアミドによりコンプスタチン類似体部分の一方に結合しているポリマーを含み；

スペーサーが 8 - アミノ - 3, 6 - ジオキサオクタン酸 (AEEOA) または 1 1 - アミノ - 3, 6, 9 - トリオキサウンデカン酸を含み；そして、

場合により、環状ペプチドが配列番号 3 ~ 3 6、3 7 A、3 8 A、3 9 A または 4 0 A に示されるアミノ酸配列を含む、請求項 10 に記載の単位用量。

**【請求項 12】**

薬学的に許容される担体をさらに含む、請求項 10 または 11 に記載の単位用量。

**【請求項 13】**

請求項 10 ~ 12 のいずれか一項に記載の単位用量を含む、シリンジまたは容器。

**【請求項 14】**

2 7 ゲージ針を用いて、または場合により 2 5 ゲージ針を用いて、または場合により 2 6 ゲージ針を用いて、または場合により 2 8 ゲージ針を用いて、または場合により 2 9 ゲージ針を用いて投与されるように製剤化された、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

**【請求項 15】**

針が薄壁針である、請求項 14 に記載の医薬組成物。

**【請求項 16】**

LACA が図 10 (C) に示される化合物を含む、請求項 1 ~ 9 もしくは 14 ~ 15 のいずれか一項に記載の医薬組成物または請求項 11 ~ 14 のいずれか一項に記載の単位用量。