

【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 7 月 2 日(2024.7.2)

【国際公開番号】WO2022/009698
【出願番号】特願 2022-535021(P2022-535021)
【国際特許分類】

C 0 7 K 7/08(2006.01)
C 1 2 N 15/11(2006.01)
A 6 1 K 31/69(2006.01)
A 6 1 K 38/10(2006.01)
A 6 1 P 21/00(2006.01)
A 6 1 P 43/00(2006.01)

10

【F I】

C 0 7 K 7/08 Z N A
C 1 2 N 15/11 Z
A 6 1 K 31/69
A 6 1 K 38/10
A 6 1 P 21/00
A 6 1 P 43/00 1 1 1
A 6 1 P 43/00 1 2 1

20

【手続補正書】

【提出日】令和 6 年 6 月 24 日(2024.6.24)

【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】

30

【請求項 1】

下記式(1)で表されるアミノ酸配列を含み、アミノ酸残基数が 15 ~ 17 である、ペプチド、もしくはその薬学的に許容される塩、またはそれらのプロドラッグ：

【化 1】

式(1)

$X^0-X^1-X^2-X^3-X^4-X^5-X^6-X^7-X^8-X^9-X^{10}-X^{11}-X^{12}-X^{13}-X^{14}-X^{15}-X^{16}$

上記式(1)において、

X^0 は、D - A l a 残基または欠損であり；

X^1 は、D - L e u 残基、D - ノルロイシン残基または欠損であり；

X^2 は、D - A r g 残基または D - オルニチン残基であり；

40

X^3 は、D - 2 - シクロヘキシルグリシン残基または D - ノルロイシン残基であり；

X^4 は、D - L y s 残基、D - A r g 残基または D - オルニチン残基であり；

X^5 は、D - S e r 残基または D - A r g 残基であり；

X^6 は、D - T r p 残基または D - 3 - (2 - ナフチル)アラニン残基であり；

X^7 は、D - 2 - フェニルグリシン残基または D - I l e 残基であり；

X^8 は、D - G l n 残基または D - A r g 残基であり；

X^9 は、D - 2 - シクロヘキシルグリシン残基であり；

X^{10} は、D - L y s、D - A r g および D - オルニチンからなる群から選択されるアミノ酸残基であり；

X^{11} は、D - 2 - フェニルグリシン残基または D - I l e 残基であり；

50

X¹² は、D - T r p 残基または D - ホモフェニルアラニン残基であり；
 X¹³ は、D - A r g 残基または D - オルニチン残基であり；
 X¹⁴ は、D - 2 - フェニルグリシン残基または D - I l e 残基であり；
 X¹⁵ は、D - T y r 残基であり；ならびに
 X¹⁶ は、D - T r p 残基、D - ホモフェニルアラニン残基または欠損である。

【請求項 2】

配列番号 1 ~ 25 で表されるアミノ酸配列のいずれか 1 つを含む、請求項 1 に記載のペプチドもしくはその薬学的に許容される塩、またはそれらのプロドラッグ。

【表 1】

	X ⁰	X ¹	X ²	X ³	X ⁴	X ⁵	X ⁶	X ⁷	X ⁸	X ⁹	X ¹⁰	X ¹¹	X ¹²	X ¹³	X ¹⁴	X ¹⁵	X ¹⁶
配列番号1	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号2	D-Ala	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号3	欠損	欠損	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号4	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	欠損
配列番号5	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号6	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-homoPhe	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号7	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-homoPhe
配列番号8	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号9	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号10	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号11	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号12	欠損	D-Nle	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号13	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Nle	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号14	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号15	欠損	D-Leu	D-Orn	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号16	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Orn	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号17	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号18	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Phg	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号19	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号20	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Arg	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号21	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Ser	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号22	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Arg	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号23	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Arg	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-Trp
配列番号24	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Arg	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-Trp	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	欠損
配列番号25	欠損	D-Leu	D-Arg	D-Chg	D-Lys	D-Arg	D-Trp	D-Nle	D-Gln	D-Chg	D-Lys	D-Phg	D-homoPhe	D-Arg	D-Phg	D-Tyr	D-homoPhe

D-Chg: D-シクロヘキシルグリシン

D-Phg: D-フェニルグリシン

D-Ala(2-Naph): D-3-(2-ナフチル)アラニン

D-homoPhe: D-ホモフェニルアラニン

D-Nle: D-ノルロイシン

D-Orn: D-オルニチン

【請求項 3】

10

20

30

40

50

配列番号 1 ~ 4、6、8 ~ 18、20 ~ 23 および 25 で表されるアミノ酸配列のいずれか 1 つを含む、請求項 2 に記載のペプチドもしくはその薬学的に許容される塩、またはそれらのプロドラッグ。

【請求項 4】

配列番号 20 ~ 23 および 25 で表されるアミノ酸配列のいずれか 1 つを含む、請求項 2 または 3 に記載のペプチドもしくはその薬学的に許容される塩、またはそれらのプロドラッグ。

【請求項 5】

下記式 (2) で表される複合体またはその薬学的に許容される塩：

【化 2】

10

Y-L-Z 式(2)

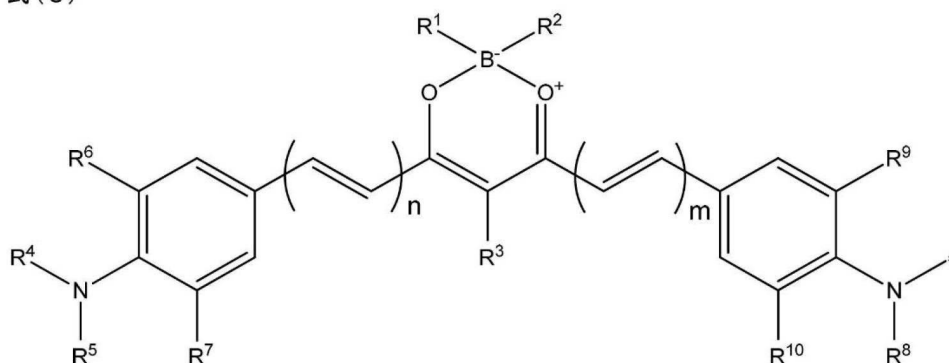
式 (2) 中、

Y は、下記式 (3)：

【化 3】

式(3)

20



[式 3 中、

R¹ および R² は、それぞれ独立して、ハロゲノアルキル基またはハロゲン原子を表し、

、

R³ は、臭素原子、ヨウ素原子またはセレン原子を表し、

30

R⁴ および R⁵ は、それぞれ独立して、水素原子または置換もしくは非置換のアルキル基を表し、

R⁶ および R⁷ は、それぞれ独立して、水素原子、ハロゲン原子、アルコキシ基または置換もしくは非置換のアルキル基を表し、この際 R⁴ および R⁶ または R⁵ および R⁷ が一緒になって、置換または非置換のアルキレン基またはアルケニレン基を形成してもよく、

、

R⁸ は、水素原子または置換もしくは非置換のアルキル基を表し、

R⁹ および R¹⁰ は、それぞれ独立して、水素原子、ハロゲン原子、アルコキシ基または置換もしくは非置換のアルキル基を表し、この際 R⁸ と R⁹ または R¹⁰ とが一緒になって、置換または非置換のアルキレン基またはアルケニレン基を形成してもよく、

40

m および n は、1 ~ 3 の整数を表し、

* は、L との結合部位である]

で表される化合物であり；

L は、Y および Z 間のリンカーを表し；

Z は、請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載のペプチドである。

【請求項 6】

前記 R¹ がハロゲン原子であり、前記 R² がハロゲノアルキル基である、請求項 5 に記載の複合体。

【請求項 7】

前記 m および n が 1 である、請求項 5 または 6 に記載の複合体。

50

【請求項 8】

R⁴ および R⁶、R⁵ および R⁷ ならびに R⁸ および R¹⁰ が一緒になって、置換または非置換のアルキレン基またはアルケニレン基を形成し、この際前記アルキレン基またはアルケニレン基の炭素数が 2 または 3 である、請求項 5 ~ 7 のいずれか 1 項に記載の複合体。

【請求項 9】

請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載のペプチドもしくはその薬学的に許容される塩、または請求項 5 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の複合体もしくはその薬学的に許容される塩を含む、マイオスタチン阻害剤。

【請求項 10】

請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載のペプチドもしくはその薬学的に許容される塩、または請求項 5 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の複合体もしくはその薬学的に許容される塩を含む、筋萎縮障害の予防および / または治療剤。

【請求項 11】

前記筋萎縮障害が、筋ジストロフィーまたはサルコペニアである、請求項 10 に記載の筋萎縮障害の予防および / または治療剤。

【請求項 12】

前記筋萎縮障害が、糖尿病またはがん悪質液に起因する筋萎縮障害である、請求項 10 に記載の筋萎縮障害の予防および / または治療剤。

10

20

30

40

50