

【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9月5日(2022.9.5)

【国際公開番号】WO2020/047352

【公表番号】特表2021-535161(P2021-535161A)

【公表日】令和3年12月16日(2021.12.16)

【出願番号】特願2021-510984(P2021-510984)

【国際特許分類】

A 61K 39/395(2006.01)

10

A 61P 9/00(2006.01)

A 61P 43/00(2006.01)

A 61K 45/00(2006.01)

A 61K 47/04(2006.01)

A 61K 47/12(2006.01)

A 61K 47/22(2006.01)

A 61K 47/02(2006.01)

A 61K 47/14(2006.01)

A 61K 31/5685(2006.01)

A 61K 38/16(2006.01)

20

A 61K 38/08(2019.01)

A 61K 31/58(2006.01)

A 61K 31/195(2006.01)

C 07K 16/40(2006.01)

C 12N 15/13(2006.01)

【F I】

A 61K 39/395 P Z N A

A 61P 9/00

A 61P 43/00 121

A 61K 45/00

30

A 61K 47/04

A 61K 47/12

A 61K 47/22

A 61K 47/02

A 61K 47/14

A 61K 31/5685

A 61K 38/16

A 61K 38/08

A 61K 31/58

A 61K 31/195

40

C 07K 16/40

C 12N 15/13

【手続補正書】

【提出日】令和4年8月26日(2022.8.26)

【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】

50

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

遺伝性血管浮腫（HAE）発作を処置するかHAE発作率を減少させる方法における使用のための組成物であって、

前記組成物は、配列番号5～7として示される重鎖相補性決定領域（CDR）と配列番号8～10として示される軽鎖CDRとを含む抗体を含み、

前記方法は、それを必要とするヒト対象に第1の処置期間において前記組成物を投与することを含み；

前記第1の処置期間において、前記抗体は、2週間ごとに約300mgで前記ヒト対象に複数回投与され；

前記ヒト対象は、HAEに罹患しているか、罹患している疑いがあるか又はHAEのリスクがあり、前記ヒト対象は、

(i) 女性である；

(ii) 18歳未満又は40～65歳である；

(iii) 少なくとも1回、以前に喉頭HAE発作を経験したことがある；

(iv) 前記第1の処置期間の最初の投与の前の4週間で、1～2回、2～3回、又は4回以上、HAE発作を起こしたことがある；及び／又は

(v) 前記第1の処置期間の前にC1-インヒビターによる処置を受けたことがある、

組成物。

【請求項 2】

遺伝性血管浮腫（HAE）発作を処置するかHAE発作率を減少させる方法における使用のための組成物であって、

前記組成物は、配列番号5～7として示される重鎖相補性決定領域（CDR）と配列番号8～10として示される軽鎖CDRとを含む抗体を含み、

前記方法は、それを必要とするヒト対象に前記組成物を投与することを含み、

前記ヒト対象は、

(i) 12～18歳の青年期であり；及び／又は

(ii) 前記抗体の最初の投与の前の4週間で2～3回、又は4回以上、HAE発作を起こしたことがあり、

前記抗体は、4週間ごとに約150mgで、4週間ごとに約300mgで、又は2週間ごとに約300mgで、前記ヒト対象に投与される、

組成物。

【請求項 3】

前記抗体が、

(i) 全長抗体又はその抗原結合断片である；

(ii) 配列番号3により示される重鎖可変領域及び／又は配列番号4により示される軽鎖可変領域を含む；及び／又は

(iii) 配列番号1により示される重鎖及び配列番号2により示される軽鎖を含む；請求項1又は請求項2に記載の組成物。

【請求項 4】

前記組成物が、薬学的に許容可能な担体を含む医薬組成物に製剤化されており、

前記薬学的に許容可能な担体はリン酸ナトリウム、クエン酸、ヒスチジン、塩化ナトリウム及びポリソルベート80を含んでもよく、

前記リン酸ナトリウムは約30mMの濃度であってもよく、前記クエン酸は約19mMの濃度であってもよく、前記ヒスチジンは約50mMの濃度であってもよく、前記塩化ナトリウムは約90mMの濃度であってもよく、前記ポリソルベート80は約0.01%であってもよい。

請求項1～3の何れか1項に記載の組成物。

【請求項 5】

10

20

30

40

50

前記組成物は皮下投与される、請求項 1 ~ 4 の何れか 1 項に記載の組成物。

【請求項 6】

(i) 前記ヒト対象が I 型 H A E 又は I I 型 H A E を有する；

(i i) 前記ヒト対象が、前記第 1 の処置期間の前に 1 年あたり少なくとも 2 回 H A E 発作を経験したことがある；及び / 又は

(i i i) 前記ヒト対象が、前記第 1 の処置期間の前に 1 回以上の事前 H A E 処置を受けたことがある；

請求項 1 ~ 5 の何れか 1 項に記載の組成物。

【請求項 7】

(i) 前記事前 H A E 処置が、 C 1 - インヒビター、血漿カリクレイン阻害剤、プラジキニン受容体アンタゴニスト、アンドロゲン、抗線維素溶解薬又はそれらの組み合わせを含む； 10

(i i) 前記事前 H A E 処置が、 C 1 - I N H 、エカランチド、イカチバント、ダナゾール、トラネキサム酸又はそれらの組み合わせを含む；及び / 又は

(i i i) 前記方法が、前記 1 回以上の事前 H A E 処置の漸減期間を含む；

請求項 6 に記載の組成物。

【請求項 8】

前記漸減期間が約 2 ~ 4 週間である、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記 1 回以上の事前 H A E 処置が、前記抗体の最初の投与の前、又は前記抗体の最初の投与後 3 週間以内の何れかに終了する、請求項 6 、 7 または 8 の何れか 1 項に記載の組成物。 20

【請求項 10】

前記ヒト対象が事前 H A E 処置を受けておらず、

前記ヒト対象は、前記抗体の最初の投与の前の少なくとも 2 週間に事前 H A E 処置を受けていなくてもよい、

請求項 1 ~ 6 の何れか 1 項に記載の組成物。

【請求項 11】

(i) 前記ヒト対象が、前記第 1 の処置期間の最初の投与の前の 4 週間で少なくとも 1 回の H A E 発作又は前記第 1 の処置期間の最初の投与の前の 8 週間で少なくとも 2 回の H A E 発作を起こしたことがある；及び / 又は 30

(i i) 前記方法が、前記第 1 の処置期間の後の第 2 の処置期間に、前記抗体を前記対象に投与することをさらに含む；

請求項 1 ~ 10 の何れか 1 項に記載の組成物。

【請求項 12】

(i) 前記第 2 の処置期間の最初の投与が、前記第 1 の処置期間の最後の投与から約 2 週間後である；及び / 又は

(i i) 前記第 2 の処置期間が、約 3 0 0 m g での前記抗体の 1 回以上の投与を含み、前記第 2 の処置期間は、 2 週間ごとに約 3 0 0 m g での前記抗体の複数回投与を含んでもよい；

請求項 11 に記載の組成物。

【請求項 13】

前記ヒト対象が、前記第 1 の処置期間の前に、前記第 1 の処置期間中に、及び / 又は前記第 2 の処置期間中に、 H A E に対する長期予防、又はアンジオテンシン変換酵素 (A C E) 阻害剤、エストロゲン含有薬物療法若しくはアンドロゲンを含む H A E 処置を受けていない、請求項 1 ~ 12 の何れか 1 項に記載の組成物。

【請求項 14】

前記方法が、

(a) 前記第 1 の処置期間後に、前記抗体を、それを必要とする前記ヒト対象に約 3 0 0 m g の用量で 1 回投与することと；

(b) 前記対象が(a)の後に H A E 発作を経験する場合、前記抗体を前記対象に約 300 m g の用量で 1回以上さらに投与することと；
をさらに含み、

(i) 段階(b)において、前記対象は、前記抗体を 2週間ごとに約 300 m g の用量で複数回投与される；

(i i) 段階(b)の最初の投与が前記 H A E 発作後 1週間以内である；及び／又は
(i i i) (a)の1回の投与と(b)の最初の投与が少なくとも 10 日間離される；
請求項 1 ~ 13 の何れか 1 項に記載の組成物。

10

20

30

40

50