

【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7年4月4日(2025.4.4)

【公開番号】特開2024-69459(P2024-69459A)

【公開日】令和6年5月21日(2024.5.21)

【年通号数】公開公報(特許)2024-092

【出願番号】特願2024-39768(P2024-39768)

【国際特許分類】

A 6 1 K 38/46(2006.01)

10

A 6 1 K 47/02(2006.01)

A 6 1 K 47/26(2006.01)

A 6 1 K 47/20(2006.01)

A 6 1 P 1/00(2006.01)

A 6 1 P 1/16(2006.01)

A 6 1 P 7/00(2006.01)

A 6 1 P 11/00(2006.01)

A 6 1 P 19/00(2006.01)

A 6 1 P 25/00(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

20

C 1 2 N 9/16(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/55(2006.01)

【F I】

A 6 1 K 38/46

A 6 1 K 47/02

A 6 1 K 47/26

A 6 1 K 47/20

A 6 1 P 1/00

A 6 1 P 1/16

30

A 6 1 P 7/00

A 6 1 P 11/00

A 6 1 P 19/00

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

C 1 2 N 9/16 Z Z N A

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/55

【手続補正書】

40

【提出日】令和7年3月24日(2025.3.24)

【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】

【請求項1】

凍結乾燥組成物を含むためのバイアルであって、前記凍結乾燥組成物は、ヒト患者における酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症(ASMD)を治療するためのものであって、本

50

質的におよそ：

20mgオリブダーゼアルファ、  
5mgリン酸二ナトリウム、  
8mgリン酸一ナトリウム、  
75mgL-メチオニン、および  
250mgスクロース、

からなる、  
前記バイアル。

【請求項2】

前記凍結乾燥組成物は0.5%以下の水分を含み、場合によっては0.3%の水分を含む、請求項1に記載のバイアル。 10

【請求項3】

本質的におよそ：

20mgオリブダーゼアルファ、  
5mgリン酸二ナトリウム、  
8mgリン酸一ナトリウム、  
75mgL-メチオニン、および  
250mgスクロース、

からなる凍結乾燥組成物を5.1mLの滅菌水で再構成することによって得られる、ヒト患者における酸性スフィンゴリエリナーゼ欠損症(ASMD)を治療するための、水性液体組成物。 20

【請求項4】

凍結乾燥組成物を含むためのバイアルであって、前記凍結乾燥組成物は、ヒト患者における酸性スフィンゴリエリナーゼ欠損症(ASMD)を治療するためのものであって、本質的に：

4mgオリブダーゼアルファ、  
0.9mgリン酸二ナトリウム、  
1.6mgリン酸一ナトリウム、  
15mgL-メチオニン、および  
50mgスクロース、

からなる、前記バイアル。 30

【請求項5】

前記凍結乾燥組成物は0.5%以下の水分を含み、場合によっては0.3%の水分を含む、請求項4に記載のバイアル。

【請求項6】

本質的におよそ：

4mgオリブダーゼアルファ、  
0.9mgリン酸二ナトリウム、  
1.6mgリン酸一ナトリウム、  
15mgL-メチオニン、および  
50mgスクロース、

からなる凍結乾燥組成物を1.1mLの滅菌水で再構成することによって得られる、ヒト患者における酸性スフィンゴリエリナーゼ欠損症(ASMD)を治療するための、水性液体組成物。 40

【請求項7】

ヒト患者における酸性スフィンゴリエリナーゼ欠損症(ASMD)を治療するための製造品であって、請求項1、2、4、または5のいずれか1項に記載のバイアルと、前記凍結乾燥組成物を再構成するための、滅菌水、0.9%塩化ナトリウム、またはリン酸緩衝生理食塩水を含むバイアルとを含む、前記製造品。

【請求項8】

前記凍結乾燥組成物は 0.5% 以下の水分を含み、場合によっては 0.3% の水分を含む、請求項 7 に記載の製造品。

【請求項 9】

ヒト患者における酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症 (ASMD) を治療するための薬剤の製造のための、請求項 1 ~ 6 のいずれか 1 項に記載のバイアルまたは組成物の使用。

【請求項 10】

前記 ASMD はニーマンピック病タイプ A / B またはニーマンピック病タイプ B である、請求項 9 に記載の使用。

【請求項 11】

前記治療は ASMD の非神経学的症状のためのものである、請求項 10 に記載の使用。

10

20

30

40

50