(12) 特許協力条約に基づいて公開された国際出願

(19) 世界知的所有権機関
国際事務局

(43) 国際公開日
2021年12月16日(16.12.2021)

WIPO | PCT

(10) 国際公開番号
WO 2021/251450 A1

(51) 国際特許分類:
A61K 31/4545 (2006.01) *A61P 43/00* (2006.01)
A61P 7/00 (2006.01) *C07D 401/14* (2006.01)
A61P 17/00 (2006.01)

(21) 国際出願番号： PCT/JP2021/022036

(22) 国際出願日： 2021年6月10日(10.06.2021)

(25) 国際出願の言語： 日本語

(26) 国際公開の言語： 日本語

(30) 優先権データ：
特願 2020-100952 2020年6月10日(10.06.2020) JP
特願 2020-134451 2020年8月7日(07.08.2020) JP

(71) 出願人: 田辺三菱製薬株式会社(**MITSUBISHI TANABE PHARMA CORPORATION**) [JP/JP]; 〒5418505 大阪府大阪市中央区道修町三丁目２番１０号 Osaka (JP).

(72) 発明者: 鈴木 毅(**SUZUKI, Tsuyoshi**); 〒5418505 大阪府大阪市中央区道修町三丁目２番１０号 田辺三菱製薬株式会社内 Osaka (JP). 近藤 真弘(**KONDO, Masahiro**); 〒5418505 大阪府大阪市中央区道修町三丁目２番１０号 田辺三菱製薬株式会社内 Osaka (JP). ▲高▼▲橋▼ 文博(**TAKAHASHI, Fumihiro**); 〒5418505 大阪府大阪市中央区道修町三丁目２番１０号 田辺三菱製薬株式会社内 Osaka (JP). 小笠原 明人(**OGASAWARA, Akihito**); 〒5418505 大阪府大阪市中央区道修町三丁目２番１０号 田辺三菱製薬株式会社内 Osaka (JP). 兵頭 和美(**HYOUDOU, Kazumi**); 〒5418505 大阪府大阪市中央区道修町三丁目２番１０号 田辺三菱製薬株式会社内 Osaka (JP).

(74) 代理人: 特許業務法人秀和特許事務所(**IP FIRM SHUWA**); 〒1030004 東京都中央区東日本橋三丁目４番１０号 アクロポリス２１ビル８階 Tokyo (JP).

(81) 指定国(表示のない限り、全ての種類の国内保護が可能): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, IT, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

(84) 指定国(表示のない限り、全ての種類の広域保護が可能): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS,

(54) **Title:** PROPHYLACTIC OR THERAPEUTIC AGENT FOR PORPHYRIA

(54) 発明の名称： ポルフィリン症の予防又は治療剤

(57) **Abstract:** A medicine for treating or preventing porphyria, which contains, as an active ingredient, 1-\{2-[(3S,4R)-1-\{[(3R,4R)-1-cyclopentyl-3-fluoro-4-(4-methoxyphenyl)pyrrolidin-3-yl]carbonyl\}-4-(methoxymethyl)pyrrolidin-3-yl]-5-(trifluoromethyl)phenyl\}piperidine-4-carboxylic acid or a pharmaceutically acceptable salt or cocrystal thereof. In the medicine for treating or preventing porphyria, the amount of 1-\{2-[(3S,4R)-1-\{[(3R,4R)-1-cyclopentyl-3-fluoro-4-(4-methoxyphenyl)pyrrolidin-3-yl]carbonyl\}-4-(methoxymethyl)pyrrolidin-3-yl]-5-(trifluoromethyl)phenyl\}piperidine-4-carboxylic acid or a pharmaceutically acceptable salt or cocrystal thereof to be administered is 50 to 500 mg/day.

(57) 要約：１－｛２－［（３Ｓ，４Ｒ）－１－｛［（３Ｒ，４Ｒ）－１－シクロペンチル－３－フルオロ－４－（４－メトキシフェニル）ピロリジン－３－イル］カルボニル｝－４－（メトキシメチル）ピロリジン－３－イル］－５－（トリフルオロメチル）フェニル｝ピペリジン－４－カルボン酸もしくはその医薬的に許容しうる塩又は共結晶を有効成分とするポルフィリン症を治療又は予防するための医薬であって、１－｛２－［（３Ｓ，４Ｒ）－１－｛［（３Ｒ，４Ｒ）－１－シクロペンチル－３－フルオロ－４－（４－メトキシフェニル）ピロリジン－３－イル］カルボニル｝－４－（メトキシメチル）ピロリジン－３－イル］－５－（トリフルオロメチル）フェニル｝ピペリジン－４－カルボン酸もしくはその医薬的に許容しうる塩又は共結晶の投与量が５０～５００ｍｇ／日である、ポルフィリン症を治療又は予防するための医薬。

WO 2021/251450 A1

［続葉有］

MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), ユーラシア (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), ヨーロッパ (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

添付公開書類：

一　国際調査報告（条約第21条(3)）