

(12) 按照专利合作条约所公布的国际申请

(19) 世界知识产权组织
国际局

(43) 国际公布日
2025 年 6 月 19 日 (19.06.2025)



(10) 国际公布号
WO 2025/124411 A1

(51) 国际专利分类号:
A61K 31/69 (2006.01) **A61P 35/00** (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/138331

(22) 国际申请日: 2024 年 12 月 11 日 (11.12.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202311706811.9 2023 年 12 月 12 日 (12.12.2023) CN

(71) 申请人: 江苏正大丰海制药有限公司 (JIANGSU CHIA TAI FENGHAI PHARMACEUTICAL CO., LTD.) [CN/CN]; 中国江苏省盐城市大丰区南翔西路 266 号 224100 (CN)。江苏创特医药科技有限公司 (JIANGSU CHUANGTE PHARMACEUTICAL TECHNOLOGY CO., LTD.) [CN/CN]; 中国江苏省盐城市大丰区开发区灶圩路北侧 1 幢 224199 (CN)。

(72) 发明人: 朱永强 (ZHU, Yongqiang); 中国江苏省盐城市大丰区南翔西路 266 号 224100 (CN)。石晶淼 (SHI, Jingmiao); 中国江苏省盐城市大丰区南翔西路 266 号 224100 (CN)。李晨辉

(LI, Chenhui); 中国江苏省盐城市大丰区南翔西路 266 号 224100 (CN)。

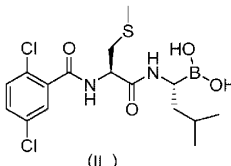
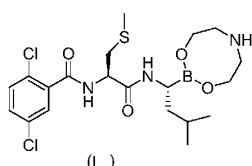
(74) 代理人: 南京天华专利代理有限公司 (NANJING TIANHUA PATENT AGENT CO., LTD.); 中国江苏省南京市鼓楼区山西路 67 号世贸中心大厦 A1 座 23 层 210009 (CN)。

(81) 指定国(除另有指明, 要求每一种可提供的国家保护): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CV, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IQ, IR, IS, IT, JM, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, MG, MK, MN, MU, 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(除另有指明, 要求每一种可提供的地区保护): ARIPO (BW, CV, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SC, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), 欧亚 (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), 欧洲 (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR,

(54) Title: METHOD FOR TREATING CHOLANGIOCARCINOMA HAVING PTEN GENE MUTATION AND/OR DELETION

(54) 发明名称: 一种治疗 PTEN 基因突变和/或缺失的胆管癌的方法



(57) Abstract: A method for treating cholangiocarcinoma having PTEN gene mutation and/or deletion, which method specifically comprises administering, to a patient with cholangiocarcinoma, a therapeutically effective amount of a proteasome inhibitor as shown in formula (I) or formula (II) or a pharmaceutically acceptable salt thereof. Preferably, the cholangiocarcinoma is cholangiocarcinoma having PTEN gene mutation and/or deletion. The method overcomes the problem of an existing protease inhibitor having no therapeutic effect in the treatment of solid tumors due to drug distribution issues, and shows good efficacy in patients with cholangiocarcinoma, especially, cholangiocarcinoma caused by PTEN gene mutation and/or deletion.

(57) 摘要: 一种治疗 PTEN 基因突变和/或缺失的胆管癌的方法, 具体为将治疗有效量的式(I)或式(II)所示的蛋白酶抑制剂或其药学上可接受的盐施于胆管癌患者, 优选的管癌为存在 PTEN 基因突变和/或缺失的胆管癌; 本方法克服了现有蛋白酶抑制剂在治疗实体瘤中因药物分布问题导致的没有疗效的问题, 对胆管癌尤其是 PTEN 基因突变和/或缺失导致的胆管癌患者, 显示出良好的药效。

WO 2025/124411 A1

[见续页]

HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, ME, 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)。

本国际公布:

— 包括国际检索报告(条约第21条(3))。