

【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 3 年 2 月 12 日 (2021.2.12)

【公表番号】特表 2020-514293 (P2020-514293A)

【公表日】令和 2 年 5 月 21 日 (2020.5.21)

【年通号数】公開・登録公報 2020-020

【出願番号】特願 2019-536521 (P2019-536521)

【国際特許分類】

A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/28	(2006.01)
A 6 1 P	25/16	(2006.01)
A 6 1 P	21/02	(2006.01)
A 6 1 P	25/08	(2006.01)
A 6 1 P	25/02	(2006.01)
A 6 1 P	39/02	(2006.01)
A 6 1 P	7/06	(2006.01)
A 6 1 P	25/14	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/00	(2006.01)
A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
A 6 1 K	31/454	(2006.01)
A 6 1 K	31/4545	(2006.01)
G 0 1 N	33/68	(2006.01)
C 1 2 N	5/0793	(2010.01)
C 0 7 K	14/775	(2006.01)
C 0 7 K	14/47	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	45/00	Z N A
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	25/28	
A 6 1 P	25/16	
A 6 1 P	21/02	
A 6 1 P	25/08	
A 6 1 P	25/02	1 0 3
A 6 1 P	39/02	
A 6 1 P	7/06	
A 6 1 P	25/14	
A 6 1 P	25/02	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 P	9/00	
A 6 1 K	39/395	M
A 6 1 K	31/7088	
A 6 1 K	31/454	
A 6 1 K	31/4545	
A 6 1 P	25/02	1 0 1
G 0 1 N	33/68	
C 1 2 N	5/0793	

C O 7 K 14/775

C O 7 K 14/47

【手続補正書】

【提出日】 令和2年12月28日 (2020.12.28)

【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】

神経障害の治療を必要とする対象において神経障害を治療するのに用いられる組成物であって、SCD阻害剤を含み、SCD阻害剤がタンパク質のミスフォールディング及び/又は凝集に関連した対象の細胞における毒性を抑制する、組成物。

【請求項 2】

対象におけるタンパク質のミスフォールディング及び/又は凝集に関連した細胞における毒性を抑制するのに用いられる組成物であって、SCD阻害剤を含む、組成物。

【請求項 3】

細胞における毒性が、タンパク質のミスフォールディングに関連したタンパク質凝集に関連している、請求項 1 又は 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

細胞における毒性が、 α -シヌクレイン又はApoE4のミスフォールディング及び/又は凝集に関連している、請求項 1～3 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 5】

細胞が神経細胞である、請求項 1～4 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 6】

神経細胞が、ニューロン又はグリア細胞である、請求項 5 に記載の組成物。

【請求項 7】

α -シヌクレイン、ApoE4及び/又はそれらの望ましくない形態の所定のレベルを超える発現レベルを有する対象において神経障害を治療するのに用いられる組成物であって、SCD阻害剤を含む、組成物。

【請求項 8】

α -シヌクレイン、ApoE4又はそれらの望ましくない形態の上昇したレベルを有するか又は該上昇したレベルを有すると予測された対象において神経疾患を治療するのに用いられる組成物であって、SCD阻害剤を含む、組成物。

【請求項 9】

対象が、遺伝子マーカーに基づいて、 α -シヌクレイン、ApoE4、及び/又はそれらの望ましくない形態の上昇したレベルを有すると予測される、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 10】

SCD阻害剤がSCD1阻害剤である、請求項 1～9 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 11】

SCD1阻害剤が、SCD5よりもSCD1に対して選択的である、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

SCD阻害剤がSCD5阻害剤である、請求項 1～8 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 13】

SCD5阻害剤が、SCD1よりもSCD5に対して選択的である、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 14】

対象が、ApoE4対立遺伝子の1又は2つのコピーを保有する、請求項 1～13 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 15】

SCD阻害剤が、式I～LXIのいずれか1つの化合物、又は本明細書に記載されているいずれかの化合物である、請求項1～14のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 16】

神経障害が、アルツハイマー病(AD)、軽度認知障害(MCI)、脳アミロイド血管症(CAA)、ダウン症候群関連認知症、又は、 $A\beta 42$ を含むアミロイドプラークの形成もしくは蓄積を特徴とする他の神経変性疾患である、請求項1及び3～15のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 17】

神経障害が、AD、パーキンソン病(PD)、レビー小体型認知症、筋萎縮性側索硬化症又はルーゲーリッグ病、アルパース病、リー病、ペリツェウス-メルツバッハ病、オリブ橋小脳萎縮症、フリードライヒ運動失調症、白質ジストロフィー、レット症候群、ラムゼイハント症候群II型、ダウン症候群、多発性硬化症及び軽度認知障害(MCI)である、請求項1及び3～15のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 18】

神経障害がプロテオパチーである、請求項1及び3～15のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 19】

プロテオパチーがシヌクレイノパチーである、請求項18に記載の組成物。

【請求項 20】

シヌクレイノパチーが、パーキンソン病(PD)、レビー小体型認知症、純粋自律神経不全症、多系統萎縮症、偶発的レビー小体病、パントテン酸キナーゼ関連神経変性症、アルツハイマー病、ダウン症候群、ゴーシェ病又はグアム島パーキンソニズム認知症複合である、請求項19に記載の組成物。

【請求項 21】

プロテオパチーが、AD、アレキサンダー病、筋萎縮性側索硬化症(ALS)、プリオン病、ハンチントン病、マチャド-ジョセフ病、ピック病又は前頭側頭型認知症である、請求項18に記載の組成物。

【請求項 22】

プリオン病がクロイツフェルト-ヤコブ病である、請求項21に記載の組成物。

【請求項 23】

神経障害が神経変性障害である、請求項1及び3～15のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 24】

神経変性障害が、アルパース病、毛細血管拡張性運動失調症、カナバン病、コケイン症候群、大脳皮質基底核変性症、ケネディ病、クラッペ病、ペリツェウス-メルツバッハ病、原発性側索硬化症、レフサム病、サンドホフ病、シルダー病、スティーラー-リチャードソン-オルゼウスキー症候群、脊髄癆、血管性認知症又はギラン-バレー症候群である、請求項23に記載の組成物。

【請求項 25】

神経障害が、ApoE関連神経変性障害である、請求項1及び3～15のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 26】

ApoE関連神経変性障害が、AD、血管性認知障害、脳アミロイド血管症、外傷性脳損傷又は多発性硬化症である、請求項25に記載の組成物。

【請求項 27】

ApoE関連障害がADである、請求項25又は26に記載の組成物。

【請求項 28】

組成物が、追加の治療剤と組み合わせて用いられる、請求項1～27のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 29】

追加の治療剤が、小分子、抗体もしくはその断片、又は核酸である、請求項 28 に記載の組成物。

【請求項 30】

追加の治療剤が、認知増強剤、抗鬱剤、精神安定剤、抗精神病薬、鎮静剤、ドーパミン促進剤又は抗振戦剤である、請求項 28 又は 29 に記載の組成物。