

【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 2 年 7 月 9 日 (2020.7.9)

【公表番号】特表 2019-521101 (P2019-521101A)

【公表日】令和 1 年 7 月 25 日 (2019.7.25)

【年通号数】公開・登録公報 2019-030

【出願番号】特願 2018-563562 (P2018-563562)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 45/06 (2006.01)

A 6 1 K 31/404 (2006.01)

A 6 1 K 31/433 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 38/18 (2006.01)

A 6 1 K 9/14 (2006.01)

A 6 1 K 47/34 (2017.01)

A 6 1 P 27/16 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 45/06

A 6 1 K 31/404

A 6 1 K 31/433

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 38/18

A 6 1 K 9/14

A 6 1 K 47/34

A 6 1 P 27/16

A 6 1 P 43/00 1 2 1

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 6 月 1 日 (2020.6.1)

【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】

対象における難聴または平衡機能障害を治療するために該対象の内耳に適用される組成物であって、

治療有効量の G S K - 3 阻害剤と、

内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させるのに十分な量の組成物とを含む組成物。

【請求項 2】

G S K - 3 阻害剤が、6 - プロモインジルピン - 3 ' - オキシム (B I O) およびチデグルシブ (T I D E) から選択される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物が、s i R N

A 分子を含む、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

s i R N A 分子が、配列番号 1 ~ 1 4 のうちの 1 つまたは複数を含む、請求項 3 に記載の組成物。

【請求項 5】

内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物が、内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させる薬剤を含むナノ粒子を含む、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 6】

内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させる薬剤が、s i R N A 分子である、請求項 5 に記載の組成物。

【請求項 7】

ナノ粒子が、生分解性ポリマーをさらに含む、請求項 5 または 6 に記載の組成物。

【請求項 8】

生分解性ポリマーが、ポリ(乳酸 - c o - グリコール酸)(P L G A)またはペグ化 P L G A (P E G - P L G A)である、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

ナノ粒子が、磁気応答性粒子をさらに含む、請求項 4 から 8 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 10】

磁気応答性粒子が、超常磁性酸化鉄(S P I O N)である、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 11】

正円窓膜または卵円窓膜を横切ってナノ粒子を輸送するために磁力を使用するステップをさらに含む、請求項 9 または 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

治療有効量の F G F 2 をさらに含む、請求項 1 から 11 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 13】

経鼓膜投与、蝸牛内注射、蝸牛内注入、または点耳剤のために製剤化される、請求項 1 から 12 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 14】

G S K - 3 阻害剤が、内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物を適用する前に適用される、請求項 1 から 13 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 15】

G S K - 3 阻害剤が、内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物を適用した後に適用される、請求項 1 から 14 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 16】

G S K - 3 阻害剤、および内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物の両方が同時に適用される、請求項 1 から 13 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 17】

対象の内耳における有毛細胞を置換、再生および / または保護するために該対象の内耳に適用される組成物あって、

治療有効量のプライミング組成物と、

内耳の組織における H e s 1 遺伝子の発現を減少させるのに十分な量の組成物とを含み、

プライミング組成物が、カテニンを安定化させること、内耳における多能性細胞の数を増加させること、内耳における既存の多能性細胞の可塑性を増加させること、または内耳の細胞における分化のためのシグナルを送ることからなる群から選択される 1 つまたは複数の機能を示す、組成物。

【請求項 18】

プライミング組成物が、GSK-3 阻害剤を含む、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 19】

GSK-3 阻害剤が、6-プロモインジルピン-3'-オキシム(BIO)およびチデグルシブ(TIDE)から選択される、請求項 18 に記載の組成物。

【請求項 20】

プライミング組成物がFGF2をさらに含む、請求項 18 に記載の組成物。

【請求項 21】

内耳の組織におけるHes1遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物が、siRNA分子を含む、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 22】

siRNA分子が、配列番号1~14のうちの1つまたは複数を含む、請求項 21 に記載の組成物。

【請求項 23】

内耳の組織におけるHes1遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物が、内耳の組織におけるHes1遺伝子の発現を減少させる薬剤を含むナノ粒子を含む、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 24】

内耳の組織におけるHes1遺伝子の発現を減少させる薬剤が、siRNA分子である、請求項 23 に記載の組成物。

【請求項 25】

ナノ粒子が、生分解性ポリマーをさらに含む、請求項 23 に記載の組成物。

【請求項 26】

生分解性ポリマーが、ポリ(乳酸-co-グリコール酸)(PLGA)またはペグ化PLGA(PEG-PLGA)である、請求項 25 に記載の組成物。

【請求項 27】

ナノ粒子が、磁気応答性粒子をさらに含む、請求項 23 に記載の組成物。

【請求項 28】

磁気応答性粒子が、超常磁性酸化鉄(SPION)である、請求項 27 に記載の組成物。

【請求項 29】

正円窓膜または卵円窓膜を横切ってナノ粒子を輸送するための磁力の使用のために製剤化される、請求項 27 に記載の組成物。

【請求項 30】

経鼓膜投与、蝸牛内注射、蝸牛内注入、または点耳剤のために製剤化される、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 31】

GSK-3 阻害剤が、内耳の組織におけるHes1遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物を適用する前に適用される、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 32】

GSK-3 阻害剤が、内耳の組織におけるHes1遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物を適用した後に適用される、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 33】

GSK-3 阻害剤、および内耳の組織におけるHes1遺伝子の発現を減少させるのに十分な組成物の両方が同時に適用される、請求項 17 に記載の組成物。