

【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6年7月17日(2024.7.17)

【国際公開番号】WO2022/020105  
【公表番号】特表2023-535443(P2023-535443A)  
【公表日】令和5年8月17日(2023.8.17)  
【年通号数】公開公報(特許)2023-154  
【出願番号】特願2023-504620(P2023-504620)  
【国際特許分類】

10

C 0 7 K 1 6 / 2 8 ( 2 0 0 6 . 0 1 )  
C 1 2 N 1 5 / 1 3 ( 2 0 0 6 . 0 1 )  
A 6 1 P 2 1 / 0 0 ( 2 0 0 6 . 0 1 )  
A 6 1 K 4 7 / 6 8 ( 2 0 1 7 . 0 1 )  
A 6 1 K 3 8 / 0 0 ( 2 0 0 6 . 0 1 )  
A 6 1 K 4 5 / 0 0 ( 2 0 0 6 . 0 1 )  
A 6 1 K 4 8 / 0 0 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

【F I】

C 0 7 K 1 6 / 2 8                      Z N A  
C 1 2 N 1 5 / 1 3  
A 6 1 P 2 1 / 0 0  
A 6 1 K 4 7 / 6 8  
A 6 1 K 3 8 / 0 0  
A 6 1 K 4 5 / 0 0  
A 6 1 K 4 8 / 0 0

20

【手続補正書】  
【提出日】令和6年7月8日(2024.7.8)

【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

30

【補正の内容】  
【特許請求の範囲】  
【請求項1】

ヒトトランスフェリン受容体(TfR)へ結合する抗体であって、配列番号76と少なくとも95%同一のアミノ酸配列を含む重鎖可変領域(VH);および配列番号75と少なくとも95%同一のアミノ酸配列を含む軽鎖可変領域(VL)を含む、前記抗体。

【請求項2】

抗体が、配列番号76のアミノ酸配列を含むVHおよび配列番号75のアミノ酸配列を含むVLを含む、請求項1に記載の抗体。

40

【請求項3】

抗体が、Fabフラグメント、Fab'フラグメント、F(ab')<sub>2</sub>フラグメント、scFv、Fv、および完全長IgGからなる群から選択される、請求項1または2に記載の抗体。

【請求項4】

抗体が、Fabフラグメントである、請求項1または2に記載の抗体。

【請求項5】

抗体が、配列番号101と少なくとも85%同一のアミノ酸配列を含む重鎖;および配列番号90と少なくとも85%同一のアミノ酸配列を含む軽鎖を含む、請求項4に記載の抗体。

【請求項6】

50

抗体が、配列番号101のアミノ酸配列を含む重鎖;および配列番号90のアミノ酸配列を含む軽鎖を含む、請求項5に記載の抗体。

【請求項7】

抗体の重鎖が、N末端ピログルタミン酸を含む、請求項1～6のいずれか一項に記載の抗体。

【請求項8】

分子ペイロードへ共有結合的に連結された、請求項1～7のいずれか一項に記載の抗体を含む、複合体。

【請求項9】

分子ペイロードが、診断剤または治療剤を含む、請求項8に記載の複合体。

10

【請求項10】

分子ペイロードが、オリゴヌクレオチド、ポリペプチド、または低分子を含む、請求項8または9に記載の複合体。

【請求項11】

抗体と分子ペイロードとが、切断可能なリンカーを介して共有結合的に連結される、請求項8～10のいずれか一項に記載の複合体。

【請求項12】

切断可能なリンカーが、バリン-シトルリン配列を含む、請求項11に記載の複合体。

【請求項13】

抗体と分子ペイロードとが、切断不能なリンカーを介して共有結合的に連結される、請求項8～10のいずれか一項に記載の複合体。

20

【請求項14】

切断不能なリンカーが、任意に置換されていてもよいアルキル基を含む、請求項13に記載の複合体。

【請求項15】

分子ペイロードが、抗体のリジン残基への抱合を介して、抗体へ共有結合的に連結される、請求項11～14のいずれか一項に記載の複合体。

【請求項16】

分子ペイロードが、抗体のシステイン残基への抱合を介して、抗体へ共有結合的に連結される、請求項11～14のいずれか一項に記載の複合体。

30

【請求項17】

請求項1～7のいずれか一項に記載の抗体または請求項8～16のいずれか一項に記載の複合体を含む、組成物。

【請求項18】

組成物が、薬学的に許容し得る担体をさらに含む、請求項17に記載の組成物。

【請求項19】

インビトロで細胞を、請求項8～16のいずれか一項に記載の複合体または請求項17または18に記載の組成物と接触させることを含む、分子ペイロードを細胞へ送達する方法。

【請求項20】

細胞が、筋細胞である、請求項19に記載の方法。

40

【請求項21】

インビボでの診断の方法における使用のための請求項8～16のいずれか一項に記載の複合体または請求項17または18に記載の組成物であって、該方法が、対象内にある細胞に前記複合体または組成物を接触することを含む、前記複合体または組成物。

【請求項22】

細胞が、筋細胞である、請求項21に記載の複合体または組成物。

【請求項23】

対象がヒトである、請求項21または22に記載の複合体または組成物。

【請求項24】

50

分子ペイロードを対象の筋肉へ送達することによって改善または予防できる疾患または状態を処置する方法における使用のための請求項 8 ~ 16 のいずれか一項に記載の複合体または請求項 17 または 18 に記載の組成物であって、  
該方法が、有効量の前記複合体または組成物を、対象へ投与すること  
を含む、前記複合体または組成物。

【請求項 25】

投与が、静脈内投与である、請求項 24 に記載の複合体または組成物。

【請求項 26】

疾患を処置する方法における使用のための請求項 8 ~ 16 のいずれか一項に記載の複合体または請求項 17 または 18 に記載の組成物であって、  
該方法が、前記複合体または組成物を、対象へ投与することを含み、ここで分子ペイロードが、治療剤である、前記複合体または組成物。

10

【請求項 27】

疾患が、筋疾患であり、かつ分子ペイロードが、筋疾患を処置するための薬物である、請求項 26 に記載の複合体または組成物。

【請求項 28】

筋疾患が、希少筋疾患または筋萎縮症である、請求項 26 または 27 に記載の複合体または組成物。

【請求項 29】

対象がヒトである、請求項 24 ~ 28 のいずれか一項に記載の複合体または組成物。

20

30

40

50