

【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】平成22年10月7日(2010.10.7)

【公表番号】特表2010-500357(P2010-500357A)

【公表日】平成22年1月7日(2010.1.7)

【年通号数】公開・登録公報2010-001

【出願番号】特願2009-523836(P2009-523836)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 P 25/14 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2006.01)

A 6 1 M 25/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 P 25/14

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/76

A 6 1 M 25/00 3 1 2

A 6 1 M 25/00 3 1 4

C 1 2 N 15/00 Z N A A

【手続補正書】

【提出日】平成22年8月6日(2010.8.6)

【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】

以下を含むハンチントン病治療用の医学的なシステム：

a) 頭蓋内のアクセスデバイス；

b) 脳中の所定の位置を位置づけるマッピング手段であり、該所定の位置は、ハンチンチンを発現する少なくとも一の細胞を含む；

c) 運搬可能な量の低分子干渉RNAであり、該低分子干渉RNAは、配列番号：24もしくは配列番号：25よりなる群によってコードされる少なくとも19のコンティグヌクレオチド、または該低分子干渉RNAをコードするベクターを含む第1の鎖を含む；および、

d) 該低分子干渉RNAを該頭蓋内のアクセスデバイスから脳の該位置へ運ぶための運搬手段。

【請求項 2】

a) 頭蓋内のアクセスデバイス；

b) 脳中の所定の位置を位置づけるマッピング手段であり、該所定の位置は、ハンチンチンを発現する少なくとも一の細胞を含む；

c) 運搬可能な量の低分子干渉RNAであり、該低分子干渉RNAは、ハンチンチンm

R N A の一部に相補的な少なくとも 19 のコンティグヌクレオチド、または該低分子干渉 R N A をコードするベクターを含む第 1 の鎖を含む；および

d) 該低分子干渉 R N A を該頭蓋内のアクセスデバイスから脳の該位置へ運ぶための運搬手段；

を含むハンチントン病治療用の医学的なシステムであって、

前記マッピング手段が前記運搬手段の配置についての内的手術の検査を可能にする、システム。

【請求項 3】

前記頭蓋内のアクセスデバイスは頭蓋内の点検口である、請求項 1 または 2 に記載の医学的なシステム。

【請求項 4】

脳中の前記所定の位置は尾状核、被殻、放線冠 (corona radiata) または線条体である、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の医学的なシステム。

【請求項 5】

該運搬手段は外部の注射器から頭蓋内の点検口への注入である、請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載の医学的なシステム。

【請求項 6】

該運搬手段は導入ポンプである、請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項に記載の医学的なシステム。

【請求項 7】

該導入ポンプは電子機械のポンプである、請求項 6 に記載の医学的なシステム。

【請求項 8】

該導入ポンプは浸透性のポンプである、請求項 6 に記載の医学的なシステム。

【請求項 9】

前記ベクターはウィルスベクターである、請求項 1 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の医学的なシステム。

【請求項 10】

前記ウィルスベクターはアデノ関連ウィルスベクターである、請求項 9 に記載の医学的なシステム。

【請求項 11】

前記ウィルスベクターは第 2 の鎖をさらにコードし、前記第 2 の鎖は前記第 1 の鎖のうち少なくとも 15 のコンティグヌクレオチドに相補的である、請求項 9 に記載の医学的なシステム。

【請求項 12】

前記低分子干渉 R N A は、第 2 の鎖をさらに含み、前記第 2 の鎖は前記第 1 の鎖のうち少なくとも 15 のコンティグヌクレオチドに相補的である、請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の医学的なシステム。

【請求項 13】

前記マッピング手段は患者に特異的であり内的手術である、請求項 1 ~ 12 のいずれか 1 項に記載の医学的なシステム。

【請求項 14】

前記頭蓋内のアクセスデバイスはカテーテルを含み、前記カテーテルはマーカを含む、請求項 1 ~ 13 のいずれか 1 項に記載の医学的なシステム。

【請求項 15】

ハンチントン病の治療のための医薬の製造における低分子干渉 R N A の使用であって、該低分子干渉 R N A は、配列番号：24 もしくは配列番号：25 よりなる群によってコードされる少なくとも 19 のコンティグヌクレオチド、または該低分子干渉 R N A をコードするベクターを含む第 1 の鎖を含み、

その際、ハンチントン病のうちの少なくとも一の特性が減少するか、あるいはその進行が緩やかになるか、または進行が止まる、使用。

## 【請求項 16】

前記ベクターはウィルスベクターである、請求項 15 に記載の使用。

## 【請求項 17】

前記ウィルスベクターはアデノ関連ウィルスベクターである、請求項 16 に記載の使用。

## 【請求項 18】

前記ウィルスベクターは第 2 の鎖をさらにコードし、前記第 2 の鎖は前記第 1 の鎖のうち少なくとも 15 のコンティグヌクレオチドに相補的である、請求項 16 または 17 に記載の使用。

## 【請求項 19】

前記低分子干渉 RNA は第 2 の鎖をさらに含み、前記第 2 の鎖は前記第 1 の鎖のうち少なくとも 15 のコンティグヌクレオチドに相補的である、請求項 15 ~ 18 のいずれか 1 項に記載の使用。

## 【請求項 20】

該低分子干渉 RNA は少なくとも 4 週間、患者の死の原因とならない、請求項 15 ~ 19 のいずれか 1 項に記載の使用。

## 【請求項 21】

前記低分子干渉 RNA の導入は患者の良好な自発運動を害さない、請求項 15 ~ 20 のいずれか 1 項に記載の使用。

## 【請求項 22】

前記低分子干渉 RNA はハンチンチンを発現する少なくとも一の細胞中で発現される、請求項 15 ~ 21 のいずれか 1 項に記載の使用。

## 【請求項 23】

ハンチンチンを発現する少なくとも一の細胞中での前記低分子干渉 RNA の発現は、少なくとも一の細胞の小胞体を害さない、請求項 22 に記載の使用。