

【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 6 月 25 日 (2020.6.25)

【公開番号】特開 2020-7330 (P2020-7330A)

【公開日】令和 2 年 1 月 16 日 (2020.1.16)

【年通号数】公開・登録公報 2020-002

【出願番号】特願 2019-151759 (P2019-151759)

【国際特許分類】

A 6 1 K	38/17	(2006.01)
A 6 1 P	1/16	(2006.01)
A 6 1 P	9/10	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
A 6 1 P	7/00	(2006.01)
A 6 1 P	1/18	(2006.01)
A 6 1 P	3/10	(2006.01)
A 6 1 P	3/04	(2006.01)
A 6 1 P	21/00	(2006.01)
A 6 1 P	19/02	(2006.01)
A 6 1 P	15/00	(2006.01)
A 6 1 P	29/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/00	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	9/08	(2006.01)
A 6 1 K	47/02	(2006.01)
A 6 1 K	47/34	(2017.01)
A 6 1 K	47/18	(2006.01)
A 6 1 K	47/24	(2006.01)
C 0 7 K	14/47	(2006.01)
C 1 2 N	15/12	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	38/17	Z N A
A 6 1 P	1/16	
A 6 1 P	9/10	1 0 1
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	7/00	
A 6 1 P	1/18	
A 6 1 P	3/10	
A 6 1 P	3/04	
A 6 1 P	21/00	
A 6 1 P	19/02	
A 6 1 P	15/00	
A 6 1 P	29/00	
A 6 1 P	9/00	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 K	45/00	
A 6 1 K	39/395	N
A 6 1 K	39/395	D

A 6 1 K 9/08  
 A 6 1 K 47/02  
 A 6 1 K 47/34  
 A 6 1 K 47/18  
 A 6 1 K 47/24  
 C 0 7 K 14/47  
 C 1 2 N 15/12

【手続補正書】

【提出日】令和2年5月15日(2020.5.15)

【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】

対象者の状態の治療に使用するための医薬組成物：ここで、

(a) 前記状態は、糖尿病又は膵臓疾患であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Ngn3、タンパク質形質導入試薬修飾Pdx1、タンパク質形質導入試薬修飾Pax4、及びタンパク質形質導入試薬修飾MafAのうち1種以上を含み；又は

(b) 前記状態は、肝臓疾患又は肝臓損傷であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Gata4、タンパク質形質導入試薬修飾Hnf1a及びタンパク質形質導入試薬修飾Foxa3のうち1種以上を含み；又は

(c) 前記状態は、アテローム性動脈硬化であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾CEBP、タンパク質形質導入試薬修飾CEBP、及びタンパク質形質導入試薬修飾PU.1のうち1種以上を含み；又は

(d) 前記状態は、神経変性疾患又は神経組織損傷であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Brn2、タンパク質形質導入試薬修飾Sox2、及びタンパク質形質導入試薬修飾Foxg1のうち1種以上；タンパク質形質導入試薬修飾Asc1、タンパク質形質導入試薬修飾Lmx1a、タンパク質形質導入試薬修飾Nurr1、タンパク質形質導入試薬修飾Brn2、及びタンパク質形質導入試薬修飾Myt11のうち1種以上；タンパク質形質導入試薬修飾Asc1、タンパク質形質導入試薬修飾Brn2、タンパク質形質導入試薬修飾Myt11、及びタンパク質形質導入試薬修飾NeuroD1のうち1種以上；タンパク質形質導入試薬修飾Ngn2；タンパク質形質導入試薬修飾Sox2及びタンパク質形質導入試薬修飾NeuroD1の一方又は両方；タンパク質形質導入試薬修飾Brn2、タンパク質形質導入試薬修飾Asc1、タンパク質形質導入試薬修飾Myt11、タンパク質形質導入試薬修飾Lhx3、及びタンパク質形質導入試薬修飾Hb9のうち1種以上；タンパク質形質導入試薬修飾Brn2、タンパク質形質導入試薬修飾Asc1、タンパク質形質導入試薬修飾Myt11、タンパク質形質導入試薬修飾Lhx3、タンパク質形質導入試薬修飾Hb9、タンパク質形質導入試薬修飾Lsl1、及びタンパク質形質導入試薬修飾Ngn2のうち1種以上；タンパク質形質導入試薬修飾Dlx2；タンパク質形質導入試薬修飾Dlx2及びタンパク質形質導入試薬修飾Asc1；タンパク質形質導入試薬修飾Asc1、タンパク質形質導入試薬修飾Brn2、タンパク質形質導入試薬修飾Myt11、タンパク質形質導入試薬修飾Lmx1a、及びタンパク質形質導入試薬修飾Foxa2のうち1種以上；又はタンパク質形質導入試薬修飾Asc1、タンパク質形質導入試薬修飾Lmx1a、及びタンパク質形質導入試薬修飾Nurr1のうち1種以上を含み；又は

(e) 前記状態は、血液の疾患又は障害であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Oct4を含み；又は

(f) 前記状態は、肥満症であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Prdm16及びタンパク質形質導入試薬修飾C/EBPのうち1種以上を含み；又は

(g) 前記状態は、筋肉疾患又は筋肉損傷であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾MyoDを含み；又は

(h) 前記状態は、関節炎又は関節疾患若しくは損傷であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Sox9、タンパク質形質導入試薬修飾Runx2、タンパク質形質導入試薬修飾Sox5、及びタンパク質形質導入試薬修飾Sox6のうち1種以上を含み；又は

(i) 前記状態は、乳房疾患又は乳房組織損傷であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Sox9、タンパク質形質導入試薬修飾Slug、タンパク質形質導入試薬修飾Stat5a、タンパク質形質導入試薬修飾Gata3、及びタンパク質形質導入試薬修飾Brca-1のうち1種以上を含み；又は

(j) 前記状態は、血管疾患又は血管損傷であり、前記医薬組成物は、タンパク質形質導入試薬修飾Erg1、タンパク質形質導入試薬修飾Er71、タンパク質形質導入試薬修飾Fli1、及びタンパク質形質導入試薬修飾Gata2のうち1種以上、又はタンパク質形質導入試薬修飾Hey1、タンパク質形質導入試薬修飾Hey2、タンパク質形質導入試薬修飾FoxC1、及びタンパク質形質導入試薬修飾FoxC2のうち1種以上、又はタンパク質形質導入試薬修飾Sox7及びタンパク質形質導入試薬修飾Sox18の一方又は両方を含み；

かつ

前記タンパク質形質導入試薬は、ポリエチレンイミン(PEI)及びN-[1-(2,3-ジオレイルオキシ)プロピル]-N,N,N-トリメチル-アンモニウムクロリド(DOTMA)、ジオクタデシルアミド-グリシルスベルミン(DOGS)、1,2-ジオレオイル-3-トリメチルアンモニウム-プロパン(DOTAP)、1,2-ジオレオイル-sn-グリセロ-3-ホスホエタノールアミン(DOPE)、1-パルミトイル-2-オレオイル-sn-グリセロ-3-ホスホコリン(POPC)、及び1,2-ジミリストイル-sn-グリセロ-3-ホスホコリン(DMPE)からなる群から選択される脂質を含む。

【請求項2】

前記状態は、I型糖尿病、II型糖尿病、膵臓組織損傷、及び膵臓癌からなる群から選択される糖尿病又は膵臓疾患である、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項3】

前記タンパク質形質導入試薬は、QQ1a、QQ2a、QQ3a、QQ4a、QQ5a、QQ6a、QQ7a、QQ8a、及びQQ9aからなる群から選択される、請求項1又は2に記載の医薬組成物：ここで、前記タンパク質形質導入試薬は、以下の表Aに示される試薬をリン酸緩衝食塩水(PBS)中に含めるように調節される。

【表 A】

表A										
タンパク質形態質導 入試薬 (QQ 試薬)	PEI Mw1,200	PEI Mw2000	PEI Mw4000	PEI Mw8000	DOTAP 又は DOTMA	DOPE 又は DOGS	POPC	DMPE		
QQ1a	50-1000µg/ml	-	-	-	25-100µg/ml	25-100µg/ml	-	-		
QQ2a	50-1000µg/ml	-	20-200µg/ml	-	25-100µg/ml	25-100µg/ml	-	-		
QQ3a	50-1000µg/ml	-	20-200µg/ml	20-200µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml	-	-		
QQ4a	50-1000µg/ml	20-200µg/ml	-	20-200µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml	-	-		
QQ5a	50-1000µg/ml	20-200µg/ml	20-200µg/ml	20-200µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml	-	-		
QQ6a	50-1000µg/ml	20-200µg/ml	20-200µg/ml	20-200µg/ml	-	--	25-100µg/ml	25-100µg/ml		
QQ7a	50-1000µg/ml	20-200µg/ml	20-200µg/ml	20-200µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml		
QQ8a	50-1000µg/ml	-	-	20-200µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml	25-100µg/ml		
QQ9a	50-1000µg/ml	-	20-200µg/ml	20-200µg/ml	-	-	25-100µg/ml	25-100µg/ml		

【請求項 4】

前記医薬組成物が全身投与のためのものである、請求項1乃至3の何れかに記載の医薬組成物。

【請求項 5】

前記全身投与が静脈注射によるものである、請求項4に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

前記医薬組成物が局所投与のためのものである、請求項1乃至3の何れかに記載の医薬組成物。

【請求項 7】

前記局所投与が心臓内投与である、請求項6に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

更に追加治療剤を含む、請求項1乃至7の何れかに記載の医薬組成物。

【請求項 9】

前記追加治療剤が化学化合物、生体高分子、抗体、又はこれらの組合せである、請求項8に記載の医薬組成物。