【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18日(2021.2.18)

【公表番号】特表2020-514295(P2020-514295A)
【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2019-536836(P2019-536836)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ　39/395　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　5/10　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/10　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/06　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　9/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　1/16　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　19/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　21/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　9/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　11/00　(2006.01)
Ｃ０７Ｋ　16/18　(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ　39/395　ＺＮＡＮ
Ａ６１Ｐ　3/00
Ａ６１Ｐ　5/10
Ａ６１Ｐ　3/10
Ａ６１Ｐ　3/04
Ａ６１Ｐ　3/06
Ａ６１Ｐ　9/00
Ａ６１Ｐ　1/16
Ａ６１Ｐ　19/00
Ａ６１Ｐ　21/00
Ａ６１Ｐ　9/04
Ａ６１Ｐ　11/00
Ｃ０７Ｋ　16/18

【手続補正書】
【提出日】令和3年1月5日(2021.1.5)
【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】
ミオスタチン選択的阻害剤を含む医薬組成物を製造する方法であって、
前記方法は、
（ｉ）ミオスタチンおよび／またはミオスタチンを含むタンパク質複合体に選択的に結合し、被検体への投与後に、被検体におけるＰＤＫ４の発現を減少させ、ＰＤＰ１の発

現を増加させることが可能な抗体またはその抗原結合断片を選択するステップ；
（ｉｉ）前記抗体または抗原結合断片をコードする１以上のポリヌクレオチドを含む宿主細胞を、前記抗体または抗原結合断片の発現が可能な条件下で培養するステップ；
（ｉｉｉ）培養物から前記抗体または抗原結合断片を単離するステップ；および
（ｉｖ）前記抗体または抗原結合断片を被検体への投与に適した医薬組成物に製剤化するステップ、ここで、前記組成物は、薬学的に許容される担体または賦形剤をさらに含む、
を含む、方法。
【請求項２】
請求項１に記載の方法であって、
前記宿主細胞は、ＣＨＯ細胞、２９３細胞、またはＮＳＯ細胞である、
方法。
【請求項３】
請求項１または２に記載の方法であって、
前記医薬組成物は、被検体への皮下投与用に製剤化される、
方法。
【請求項４】
請求項１～３のいずれか一項に記載の方法であって、
前記抗体または抗原結合断片は、アクチビンＡに結合しない、
方法。
【請求項５】
請求項１～４のいずれか一項に記載の方法であって、
医薬組成物は、ヒト被検体における代謝疾患の処置または防止のために使用される、
方法。
【請求項６】
請求項５に記載の方法であって、
前記代謝疾患が、Ｉ型糖尿病、ＩＩ型糖尿病、肥満、ＩＩ型糖尿病に関連する肥満、メタボリックシンドローム／糖尿病前症、心血管疾患、非アルコール性脂肪性肝炎（ＮＡＳＨ）、脊髄損傷（ＳＣＩ）、ＳＭＡ、代謝低下状態、二重糖尿病、代謝性骨障害、クッシング病、および肥満症候群からなる群より選択される、
方法。
【請求項７】
プロ／潜在型ミオスタチンに特異的に結合し、成熟ミオスタチンの放出を遮断する抗体またはその抗原結合断片を含む組成物であって、代謝疾患に罹患しているか、またはそれを発症するリスクがあるヒト被験体を選択するステップ；および、前記ヒト被検体に、前記抗体またはその抗原結合断片を含む前記組成物を有効量で投与するステップを含む、ヒト被検体における代謝疾患の処置または防止における医薬として使用するための、組成物。
【請求項８】
前記被検体がミオパチーを有さず、任意選択で、前記ミオパチーが原発性ミオパチーまたは二次性ミオパチーである、請求項７に記載の組成物。
【請求項９】
前記被検体が成長ホルモン（ＧＨ）欠乏症に罹患している成人ヒト被検体であり、任意選択で、前記被検体が組換えＧＨ治療またはＧＨ遺伝子治療を同時に受けている、請求項７に記載の組成物。
【請求項１０】
前記代謝疾患が、Ｉ型糖尿病、ＩＩ型糖尿病、肥満、ＩＩ型糖尿病に関連する肥満、メタボリックシンドローム／糖尿病前症、心血管疾患、非アルコール性脂肪性肝炎（ＮＡＳＨ）、脊髄損傷（ＳＣＩ）、ＳＭＡ、代謝低下状態、二重糖尿病、代謝性骨障害、クッシング病、および肥満症候群からなる群より選択される、請求項７に記載の組成物。

【請求項１１】
前記心血管疾患が心不全である、請求項１０に記載の組成物。
【請求項１２】
前記心不全が体液過剰を含むＣＨＦである、請求項１１に記載の組成物。
【請求項１３】
前記体液過剰が全身性浮腫および／または肺水腫を含む、請求項１２に記載の組成物。
【請求項１４】
前記ヒト被検体が利尿薬治療に対する応答が不十分である、請求項１２に記載の組成物。
【請求項１５】
前記肥満症が筋肉減少性肥満症である、請求項１０に記載の組成物。
【請求項１６】
前記ヒト被検体が食事制限を行っている、請求項１０に記載の組成物。
【請求項１７】
前記食事制限がカロリー制限食である、請求項１６に記載の組成物。
【請求項１８】
前記被検体がまた、身体活動に制限を有する、請求項１７に記載の組成物。
【請求項１９】
前記被検体が運動レジメンを行っていない、請求項１６～１８のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項２０】
前記被検体が運動レジメンを行っている、請求項１６～１８のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項２１】
前記代謝低下状態が、長期にわたる運動抑制に関連する状態、床上安静に関連する状態、ギブス固定に関連する状態、脳卒中に関連する状態、切断術に関連する状態、および外科手術後の状態からなる群より選択される、請求項１０に記載の組成物。
【請求項２２】
前記クッシング病が、コルチコステロイド誘導クッシング病および腫瘍誘導クッシング病からなる群より選択される、請求項１０に記載の組成物。
【請求項２３】
前記肥満症候群が、プラダー・ウィリー症候群、遺伝性障害に関連する肥満症候群、および視床下部障害に関連する肥満症候群からなる群より選択される、請求項１０に記載の組成物。
【請求項２４】
前記組成物の投与が、以下：
ａ）前記ヒト被検体における筋組織の量および／もしくは機能を増大させること；
ｂ）前記ヒト被検体における速筋組織の量および／もしくは機能を増大させること；
ｃ）前記ヒト被検体における遅筋組織の量および／もしくは機能を増大させること；
ｄ）前記ヒト被検体の代謝率を上昇させること；
ｅ）前記ヒト被検体におけるインスリン感受性を増大させること；
ｆ）前記ヒト被検体における褐色脂肪組織のレベルを上昇させること；
ｇ）前記ヒト被検体におけるベージュ脂肪組織のレベルを上昇させること；
ｈ）前記ヒト被検体における白色脂肪組織のレベルを低下させること；
ｉ）前記ヒト被検体における内臓脂肪組織のレベルを低下させること；
ｊ）前記ヒト被検体における脂肪対筋組織の比率を低下させること；
ｋ）前記ヒト被検体における標的組織によるグルコース取り込みを増加させること、ここで、標的組織は褐色脂肪組織、ベージュ脂肪組織、および筋組織からなる群より選択される；
１）前記ヒト被検体における標的組織によるグルコース取り込みを減少させること、ここ

で、標的組織は白色脂肪組織および肝臓組織からなる群より選択される；
ｍ）前記ヒト被検体におけるタンパク質の筋肉での異化および／もしくはアミノ酸の筋肉からの放出を減少させること；
ｎ）前記ヒト被検体におけるインスリン依存性血糖調節を増大させること；
ｏ）前記ヒト被検体における筋肉内脂肪浸潤を減少させること；
ｐ）標準化された生活の質の試験スコアを改善すること；
ｑ）前記ヒト被検体における筋肉喪失もしくは筋萎縮を防止すること；
ｒ）骨密度もしくは骨体積を増大させること；
ｓ）骨喪失もしくは骨折を防止するもしくは低減させること；
ｔ）慢性心不全（ＣＨＦ）に関連する体液過剰もしくは浮腫を低減させること；ならびに／または
ｕ）治療に対する前記被検体の反応を増強させること；
のうちの少なくとも１つを引き起こす、請求項７～２３のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項２５】
前記抗体またはその抗原結合性部分が、成熟ミオスタチン、ＧＤＦ１１、またはアクチビンに結合しない、請求項７～２４のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項２６】
前記抗体またはその抗原結合断片が、
ａ）配列番号２５のアミノ酸配列を含む重鎖可変領域および配列番号３１のアミノ酸配列を含む軽鎖可変領域、または
ｂ）配列番号５０のアミノ酸配列を含む重鎖および配列番号５１のアミノ酸配列を含む軽鎖
を含む、請求項７～２５のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項２７】
被検体における代謝疾患の治療において使用するための医薬組成物であって、
インスリン分泌促進剤およびミオスタチン選択的阻害剤を含み、
前記インスリン分泌促進剤は、レパグリニド、セナグリニド（ｓｅｎａｇｌｉｎｉｄｅ）、ナテグリニド、ミチグリニド、およびＧＬＰ-１からなる群から選択される、
医薬組成物。
【請求項２８】
請求項２７に記載の医薬組成物であって、
皮下投与用に製剤化される、
医薬組成物。
【請求項２９】
被検体における代謝疾患の治療において使用するための医薬組成物であって、
インスリン分泌促進剤を含み、
前記インスリン分泌促進剤は、レパグリニド、セナグリニド（ｓｅｎａｇｌｉｎｉｄｅ）、ナテグリニド、ミチグリニド、またはＧＬＰ-１であり、
前記医薬組成物はミオスタチン選択的阻害剤と組み合わせて使用される、
医薬組成物。
【請求項３０】
被検体における代謝疾患の治療において使用するための医薬組成物であって、
ミオスタチン選択的阻害剤を含み、
前記ミオスタチン選択的阻害剤は、アクチビンＡを阻害せず、
前記医薬組成物は、レパグリニド、セナグリニド（ｓｅｎａｇｌｉｎｉｄｅ）、ナテグリニド、ミチグリニド、およびＧＬＰ-１からなる群から選択されるインスリン分泌促進剤と組み合わせて使用される、
医薬組成物。
【請求項３１】
請求項２７、２９または３０に記載の医薬組成物であって、

前記ミオスタチン選択的阻害剤は、請求項１に記載の方法によって製造されたものである、
医薬組成物。