

【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4年5月9日(2022.5.9)

【国際公開番号】WO2019/210109

【公表番号】特表2021-522266(P2021-522266A)

【公表日】令和3年8月30日(2021.8.30)

【出願番号】特願2020-560247(P2020-560247)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 31/6615(2006.01)

A 6 1 P 17/02(2006.01)

A 6 1 P 9/00(2006.01)

A 6 1 K 39/395(2006.01)

10

【F I】

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 31/6615

A 6 1 P 17/02

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 43/00 1 0 7

A 6 1 K 39/395 D

A 6 1 K 39/395 N

20

【手続補正書】

【提出日】令和4年4月25日(2022.4.25)

【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

30

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

A B C B 5 - P I P 2 結合を阻害する、必要とする対象の処置のために用いられる組成物であって、ここで、該組成物が、小分子、脂質アナログ、タンパク質の細胞外ポリペプチドの環状形態または直鎖形態に対する特異性を有する抗 A B C B 5 抗体またはフラグメント、酵素、および A B C B 5 P I P 2 結合部位の立体構造を改変する抗 A B C B 5 抗体またはそのフラグメントを含む群より選択され、該組成物が、対象に有効量で投与され、A B C B 5 陽性癌細胞の機能を阻害する、前記組成物。

40

【請求項2】

A B C B 5 P I P 2 結合部位の立体構造を改変する抗 A B C B 5 抗体またはそのフラグメントが、P I P 3 の生成を阻害する、または、P I 3 K 経路を阻害する、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

必要とする対象の処置のために用いられる P I P 2 または P I P 2 アゴニストであって、ここで、該 P I P 2 または P I P 2 アゴニストが、A B C B 5 - P I P 2 経路を増強し、これによって A B C B 5 陽性細胞の機能が増強される有効量で投与される、前記 P I P 2 または P I P 2 アゴニスト。

【請求項4】

50

組成物の投与の後に、A B C B 5 - P I P 2 結合が評価される、請求項 3 に記載の P I P 2 または P I P 2 アゴニスト。

【請求項 5】

組成物が、リン脂質を含み、任意に、[P I P 2 (6 : 0 / 1 8 : 0) - H] - および薬学的に受入可能なキャリアを含み得る、請求項 3 に記載の P I P 2 または P I P 2 アゴニスト。

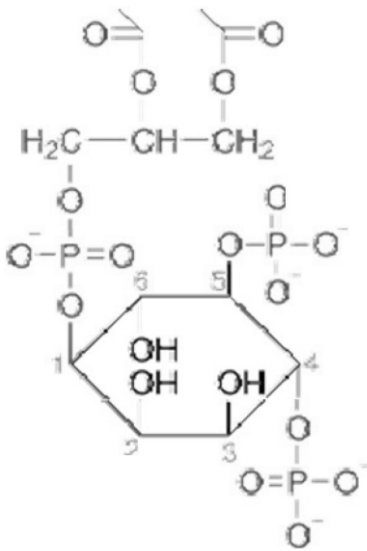
【請求項 6】

組成物が、構造：

【化 1】

R1 R2

10



20

ここで、R 1 および R 2 は、独立した脂肪酸鎖であり；ならびに

ここで、R 1 および R 2 が、R 1 および R 2 のうちの他方の少なくとも 2 倍の長さを有する、

30

を有する化合物を含む、リン脂質を含み、任意に、構造が、2 2 : 0 ~ 2 6 : 0 の、または、2 4 : 0 の総脂肪酸鎖を有していてもよい、請求項 3 に記載の P I P 2 または P I P 2 アゴニスト。

【請求項 7】

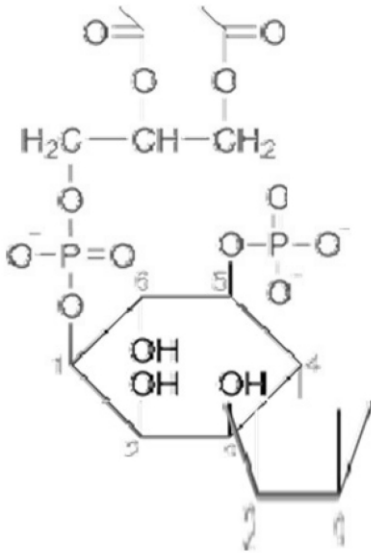
構造：

40

50

【化 2】

R1 R2



10

ここで、R1 および R2 は、独立した脂肪酸鎖であり；ならびに

20

ここで、R1 および R2 は、R1 および R2 のうちの方の少なくとも 2 倍の長さを有する、

を有する化合物を含む、合成リン脂質を含む、組成物。

【請求項 8】

リン脂質が、22:0 ~ 26:0 の総脂肪酸鎖を有し、任意に、リン脂質が、24:0 の総脂肪酸鎖を有していてもよい、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

リン脂質が、式：C₃₃H₆₅O₁₉P₃ を有する、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 10】

リン脂質が、[PIP2(6:0/18:0)-H]- および薬学的に受入可能なキャリアを含む、請求項 7 に記載の組成物。

30

【請求項 11】

組成物が、PIP2 アナログを含む、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 12】

2 個の膜貫通ドメイン (TMD) および 12 個の膜貫通ヘリックス (TM1 ~ 12) を含む、ABC B5 アイソフォーム 1 であって、ここで、位置 970 TM12 におけるグルタミン酸がリジンに変異させられているか、またはここで、位置 970 TM12 がグルタミン酸である、前記 ABC B5 アイソフォーム 1、または、1 個の膜貫通ドメイン (TMD) および 6 個の膜貫通ヘリックス (TM1 ~ 6) を含む、ABC B5 アイソフォーム 2 であって、ここで、位置 525 TM6 におけるグルタミン酸がリジンに変異させられているか、またはここで、位置 525 TM12 がグルタミン酸である、前記 ABC B5 アイソフォーム 2。

40

【請求項 13】

ABC B5 - PIP2 経路を阻害する単離されたヒト抗 ABC B5 アイソフォーム抗体またはその結合フラグメントであって、ここで、抗 ABC B5 抗体またはその ABC B5 結合フラグメントが、請求項 12 に記載の ABC B5 アイソフォーム 1 または 2、または、ABC B5 の三次元立体構造の細胞外ループに特異的に結合する、前記ヒト抗 ABC B5 アイソフォーム抗体またはその結合フラグメント。

【請求項 14】

対象においてがんを処置するために用いる、Cas タンパク質、内在 ABC B5 遺伝子に

50

ハイブリダイズする C R I S P R RNA、および t r a c r RNA であって、ここで、細胞中の内在 A B C B 5 遺伝子が、遺伝子編集を用いて破壊され、その結果、細胞中の内在 A B C B 5 遺伝子が、A B C B 5 遺伝子の末端膜貫通ヘリックスをコードする遺伝子の領域における A A A 配列が G A A に置き換えられるように修飾されるを含む、前記 C a s タンパク質、内在 A B C B 5 遺伝子にハイブリダイズする C R I S P R RNA、および t r a c r RNA。

【請求項 15】

対象においてがんを処置するために用いる、A B C B 1 阻害剤であって、A B C B 1 阻害剤が、がんを処置するために A B C B 5 - P I P 2 経路の機能を阻害するための有効量において投与され、ここで、

10

i) がんは、癌細胞からなり、癌細胞は、無視し得る A B C B 1 を発現するか、または A B C B 1 を発現しない；または

i i) 対象への阻害剤の投与の前に、A B C B 5 + 幹細胞の存在が検出される；または、

i i i) ここで、A B C B 1 阻害剤は、ポンプ阻害剤であり、がんは、化学療法剤と同時に処置されない；または

i v) 対象への阻害剤の投与の後に、A B C B 5 - P I P 2 結合が評価される

を含む、前記 A B C B 1 阻害剤。

【請求項 16】

がんを特徴づけるための方法であって：

がんを特徴づけるために、対象から単離された癌細胞を提供すること、癌細胞が、A B C B 5 ホモ接合アイソフォーム 2 K 5 2 5 / K 5 2 5 であるか、A B C B 5 ホモ接合アイソフォーム 2 E 5 2 5 / E 5 2 5 であるか、または A B C B 5 ヘテロ接合アイソフォーム 2 K 5 2 5 / E 5 2 5 であるかを決定すること

20

を含む、前記方法。

30

40

50