

【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1部門第1区分
 【発行日】平成20年3月27日(2008.3.27)

【公表番号】特表2007-523648(P2007-523648A)
 【公表日】平成19年8月23日(2007.8.23)
 【年通号数】公開・登録公報2007-032
 【出願番号】特願2006-552376(P2006-552376)
 【国際特許分類】

C 1 2 N 9/26 (2006.01)
 C 1 2 N 9/14 (2006.01)
 C 1 2 N 15/09 (2006.01)
 A 6 1 K 38/43 (2006.01)
 A 6 1 K 38/46 (2006.01)
 A 6 1 P 3/00 (2006.01)
 A 6 1 P 25/02 (2006.01)
 A 6 1 P 3/06 (2006.01)
 C 1 2 N 9/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 9/26
 C 1 2 N 9/14 Z N A
 C 1 2 N 15/00 A
 A 6 1 K 37/48
 A 6 1 K 37/54
 A 6 1 P 3/00
 A 6 1 P 25/02
 A 6 1 P 3/06
 C 1 2 N 9/00

【手続補正書】

【提出日】平成20年2月5日(2008.2.5)

【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】

END 3相補群CHO細胞において産生される、高レベルのリン酸化、及び低レベルの非リン酸化高マンノース型オリゴ糖を有する、ヒト組換えリソソーム酵素又はその変異体、あるいは当該酵素又は変異体の誘導体。

【請求項2】

前記酵素が、酸性 グルコシダーゼ、アスパルチルグルコサミニダーゼ、酸性リパーゼ、システイン輸送体、Lamp-2、 -ガラクトシダーゼA、酸性セラミダーゼ、 -L-フコシダーゼ、 -ヘキソサミニダーゼA、GM2-活性因子欠損、 -D-マンノシダーゼ、 -D-マンノシダーゼ、アリアルスルファターゼA、サボシンB、ノイラミニダーゼ、 -N-アセチルグルコサミニダーゼ、ホスホトランスフェラーゼ、ホスホトランスフェラーゼ -サブユニット、L-イズロニダーゼ、イズロネート-2-スルファターゼ、ヘパラン-N-スルファターゼ、 -N-アセチルグルコサミニダーゼ、アセチルCoA:N-アセチルトランスフェラーゼ、N-アセチルグルコサミン 6-スル

ファクターゼ、ガラクトース 6 - スルファターゼ、 - ガラクトシダーゼ、N - アセチルガラクトサミン 4 - スルファターゼ、ヒアルロノグルコサミニダーゼ、多発性スルファターゼ、パルミトイル蛋白質チオエステラーゼ、トリペプチジル ペプチダーゼ I、酸性スフィンゴミエリナーゼ、コレステロール輸送、カテプシン K、 - ガラクトシダーゼ B、及びシアル酸輸送体からなる群より選択される、請求項 1 に記載の酵素。

【請求項 3】

END 3 相補群 CHO 細胞において産生される、高レベルのリン酸化、及び低レベルの非リン酸化高マンノース型オリゴ糖を有する、ヒト組換え酸性 グルコシダーゼ (rhGAA) 又はその変異体、あるいは当該酵素又は変異体の誘導体。

【請求項 4】

前記 END 3 相補群 CHO 細胞が、G 7 1 細胞系又はその誘導体である、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の酵素。

【請求項 5】

高リン酸化ヒト組換えリソソーム酵素群又はそれらの変異体の製造方法であって、以下のステップ：

- (a) チャイニーズ ハムスター 卵巣 (CHO) 由来の END 3 相補群細胞を培養する；
- (b) 前記 END 3 相補群細胞に好適な哺乳類発現ベクターを製造する；
- (c) 前記発現ベクターで前記 END 3 相補群細胞をトランスフェクションする；
- (d) END 3 相補群の形質転換体の選択、及びクローニング；及び
- (e) 生産のための細胞培養プロセス法の最適化、を含む前記方法。

【請求項 6】

前記酵素が、低レベルの非リン酸化高マンノース型オリゴ糖を有する、請求項 5 に記載の方法。

【請求項 7】

請求項 5 に記載の方法により製造される、リソソーム酵素、その変異体又は誘導体。

【請求項 8】

請求項 7 に記載のリソソーム酵素、変異体又は誘導体、及び医薬として許容される担体、希釈剤又は賦形剤、を含む組成物。

【請求項 9】

前記 END 3 相補群 CHO 細胞が、G 7 1 細胞系又はその誘導体である、請求項 5 又は 6 に記載の方法。

【請求項 10】

高リン酸化ヒト組換え酸性 グルコシダーゼ (hrGAA) 又はその変異体の製造方法であって、以下のステップ：

- (a) チャイニーズ ハムスター 卵巣 (CHO) 由来の END 3 相補群細胞を培養する；
- (b) 前記 END 3 相補群細胞に好適な哺乳類発現ベクターを製造する；
- (c) 前記発現ベクターで前記 END 3 相補群細胞をトランスフェクションする；
- (d) END 3 相補群の形質転換体の選択、及びクローニング；及び
- (e) 生産のための細胞培養プロセス法の最適化、を含む前記方法。

【請求項 11】

前記 hrGAA が、低レベルの非リン酸化高マンノース型オリゴ糖を有する、請求項 10 に記載の方法。

【請求項 12】

請求項 10 に記載の方法により製造される、高リン酸化組換え酸性 グルコシダーゼ (hrGAA)、その変異体又は誘導体。

【請求項 13】

請求項 1 2 に記載の組換え酸性 グルコシダーゼ (h r G A A)、その変異体又は誘導体、及び医薬として許容される担体、希釈剤又は賦形剤、を含む組成物。

【請求項 1 4】

前記 E N D 3 相補群 C H O 細胞が、G 7 1 細胞系又はその誘導体である、請求項 1 0 又は 1 1 に記載の方法。

【請求項 1 5】

治療有効量のリソソーム酵素を含むリソソーム酵素欠損症の治療のための医薬組成物であって、ここで前記リソソーム酵素が、C H O 由来の E N D 3 相補群細胞系により製造される、ヒト組換えリソソーム酵素又はその変異体、あるいは前記酵素又は変異体の誘導体である、前記医薬組成物。

【請求項 1 6】

前記リソソーム酵素欠損症が、アスパルチルグルコサミン尿症、コレステロール エステル蓄積症、ウォルマン病、シスチン病、ダノン病、ファブリー病、ファーバー脂肪肉芽腫症、ファーバー病、フコース蓄積症、ガラクトシアリドーシス I / I I 型、ゴーシェ病 I / I I / I I I 型、ゴーシェ病、球様細胞白質萎縮症、クラッペ病、糖原病 I I、ポンプ病、G M 1 - ガングリオシドーシス I / I I / I I I 型、G M - 2 ガングリオシドーシス I 型、テイサック病、G M 2 - ガングリオシドーシス I I 型、サンドホフ病、G M 2 - ガングリオシドーシス、 - マンノシドーシス I / I I 型、 - マンノシドーシス、異染性白質萎縮症、ムコリピドーシス I 型、シアリドーシス I / I I 型、ムコリピドーシス I I / I I I 型 I - 細胞病、ムコリピドーシス I I I C 型 偽性ハーラーポリジストロフィー、ムコ多糖症 I 型、ムコ多糖症 I I 型、ハンター症候群、ムコ多糖症 I I I A 型、サンフィリポ症候群、ムコ多糖症 I I I B 型、ムコ多糖症 I I I C 型、ムコ多糖症 I I I D 型、ムコ多糖症 I V A 型、モルキオ症候群、ムコ多糖症 I V B 型のモルキオ症候群、ムコ多糖症 V I 型、ムコ多糖症 V I I 型、スライ症候群、ムコ多糖症 I X 型、多発性スルファターゼ欠損症、神経セロイドリポフスチノーシス、C L N 1 バッテン病、ニーマン - ピック病 A / B 型、ニーマン - ピック病、ニーマン - ピック病 C 1 型、ニーマン - ピック病 C 2 型、ピクノディスオストーシス、シンドラー病 I / I I 型、シンドラー病、及びシアル酸蓄積病からなる群より選択される、請求項 1 5 に記載の組成物。

【請求項 1 7】

前記 E N D 3 相補群 C H O 細胞が、G 7 1 細胞系又はその誘導体である、請求項 1 5 又は 1 6 に記載の組成物。