

【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12月24日(2020.12.24)

【公表番号】特表2020-503265(P2020-503265A)

【公表日】令和2年1月30日(2020.1.30)

【年通号数】公開・登録公報2020-004

【出願番号】特願2019-527321(P2019-527321)

【国際特許分類】

A 6 1 K	35/76	(2015.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/167	(2006.01)
A 6 1 K	9/10	(2006.01)
C 1 2 N	15/35	(2006.01)
C 1 2 N	15/12	(2006.01)
C 1 2 N	7/01	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	35/76	Z N A
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 K	31/167	
A 6 1 K	9/10	
C 1 2 N	15/35	
C 1 2 N	15/12	
C 1 2 N	7/01	

【手続補正書】

【提出日】令和2年11月13日(2020.11.13)

【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】

メチル-CpG-結合タンパク質2(MECP2)をコードするポリヌクレオチド配列に隣接する1つまたは複数のAAV逆位末端反復(ITS)を含む、組換えアデノ随伴ウィルス(rAAV)ベクター。

【請求項2】

自己相補的(scAAV)である、請求項1に記載のrAAVベクター。

【請求項3】

前記rAAVがrAAV9である、請求項1または2に記載のrAAVベクター。

【請求項4】

MECP2をコードする前記ポリヌクレオチド配列が、配列番号3を含む、請求項3に記載のrAAV9ベクター。

【請求項5】

配列番号2からなるプロモーターをさらに含む、請求項1～3のいずれか一項に記載の

r A A V ベクター。

【請求項 6】

合成ポリアデニル化シグナル配列をさらに含む、請求項 1～5 のいずれか一項に記載のウイルスベクター。

【請求項 7】

前記ポリアデニル化シグナル配列が、配列番号 4 を含む、請求項 1～6 のいずれか一項に記載のウイルスベクター。

【請求項 8】

S V 4 0 イントロン配列をさらに含む、請求項 1～7 のいずれか一項に記載のウイルスベクター。

【請求項 9】

1 つまたは複数の逆位末端反復 (I T R s) をさらに含む、請求項 1～8 のいずれか一項に記載のウイルスベクター。

【請求項 10】

1 つまたは複数の前記 I T R s が、変異体 A A V 2 I T R を含む、請求項 9 に記載のウイルスベクター。

【請求項 11】

1 つまたは複数の前記 I T R s が、野生型 A A V 2 I T R を含む、請求項 10 に記載のウイルスベクター。

【請求項 12】

前記 r A A V が A V X S - 2 0 1 である、請求項 1～11 のいずれか一項に記載の r A A V ベクター。

【請求項 13】

前記 r A A V が s c A A V 9 . 7 3 8 . M e c p 2 である、請求項 1～11 のいずれか一項に記載の r A A V ベクター。

【請求項 14】

請求項 1～13 のいずれか一項に記載のウイルスベクターを含む、ウィルス。

【請求項 15】

1 つまたは複数のキャプシドタンパク質をさらに含む、請求項 14 に記載のウィルス。

【請求項 16】

請求項 1～13 のいずれか一項に記載の r A A V ベクターまたは請求項 14 もしくは 15 に記載のウィルスを含む、医薬組成物。

【請求項 17】

髄腔内 (I T) 投与用に製剤化されている、請求項 16 に記載の医薬組成物。

【請求項 18】

レット症候群の処置への使用のための、請求項 1～13 のいずれか一項に記載の r A A V ベクター、請求項 14 もしくは 15 に記載のウィルスまたは請求項 16 もしくは 17 に記載の医薬組成物。

【請求項 19】

髄腔内 (I T) 投与によって投与される、請求項 18 に記載の使用のための r A A V 、ウィルスまたは医薬組成物。

【請求項 20】

前記使用が、患者への非イオン性の低浸透圧造影剤をさらに含む、請求項 18 または 19 に記載の r A A V 、ウィルスまたは医薬組成物。

【請求項 21】

前記非イオン性の低浸透圧造影剤が、イオビトリドール、イオヘキソール、イオメプロール、イオパミドール、イオペントール、イオプロミド、イオベルソールおよびイオキシランの 1 つまたは複数を含む、請求項 20 に記載の r A A V 、ウィルスまたは医薬組成物。

【請求項 22】

前記非イオン性の低浸透圧造影剤がイオヘキソールを含む、請求項 2 1 に記載の r A A V、ウィルスまたは医薬組成物。

【請求項 2 3】

レット症候群を処置するための医薬品の調製のための、請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の r A A V ベクター、請求項 1 4 もしくは 1 5 に記載のウィルスまたは請求項 1 6 もしくは 1 7 に記載の医薬組成物の使用。

【請求項 2 4】

前記医薬品が、髄腔内 (I T) 投与用に製剤化されている、請求項 2 3 に記載の使用。

【請求項 2 5】

前記医薬品が、患者への非イオン性の低浸透圧造影剤をさらに含む、請求項 2 3 または 2 4 に記載の使用。

【請求項 2 6】

前記非イオン性の低浸透圧造影剤が、イオビトリドール、イオヘキソール、イオメプロール、イオパミドール、イオペントール、イオプロミド、イオベルソールおよびイオキシランの 1 つまたは複数を含む、請求項 2 5 に記載の使用。

【請求項 2 7】

前記非イオン性の低浸透圧造影剤がイオヘキソールを含む、請求項 2 6 の記載の使用。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 0 6

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 1 0 6】

本明細書で言及された全ての文献は、その全体が参照により組み込まれる。

本発明は、以下の態様を提供しうる。

[1]

患者のレット症候群を処置する方法であって、メチル - C p G 結合タンパク質 2 (M E C P 2) をコードする組換えアデノ随伴ウイルス 9 (r A A V 9) の、それを必要とする患者への髄腔内投与の工程を含み、前記 r A A V 9 は、M E C P 2 B をコードする自己相補的ゲノムを含み、前記自己相補的ゲノムの配列は、配列番号 1 に記載されている、方法。

[2]

前記 r A A V 9 は、r A A V 9 A V X S - 2 0 1 である、上記 [1] に記載の方法。

[3]

イオヘキソール、イオビトリドール、イオメプロール、イオパミドール、イオペントール、イオプロミド、イオベルソールもしくはイオキシランまたはそれらの 2 つ以上の混合物の髄腔内投与をさらに含む、上記 [1] または [2] に記載の方法。

[4]

前記患者をトレンデレンブルグ体位に置くことをさらに含む、上記 [1] ~ [3] のいずれかに記載の方法。