

【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 - C p G - 結合タンパク質 2 ( M E C P 2 ) 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 A A V 逆位末端反復 ( I T R s ) を含む、組換えアデノ随伴ウイルス ( r A A V ) ベクター。

【請求項 2】

自己相補的 ( s c A A V ) である、請求項 1 に記載の r A A V ベクター。

【請求項 3】

前記 r A A V が r A A V 9 である、請求項 1 または 2 に記載の r A A V ベクター。

【請求項 4】

M E C P 2 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 r A A V 9 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、ウイルス。

【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 に記載のウイルス。

【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 に記載のウイルスを含む、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 に記載のウイルスまたは請求項 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 、ウイ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 、ウイ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、イオペンツール、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 、ウイ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。