

【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】令和5年2月10日(2023.2.10)

【国際公開番号】WO2020/163300

【公表番号】特表2022-519596(P2022-519596A)

【公表日】令和4年3月24日(2022.3.24)

【年通号数】公開公報(特許)2022-052

【出願番号】特願2021-545401(P2021-545401)

【国際特許分類】

10

C 12N 15/864(2006.01)

C 12N 7/01(2006.01)

C 12N 15/12(2006.01)

A 61K 35/76(2015.01)

A 61P 25/00(2006.01)

A 61K 38/17(2006.01)

A 61K 48/00(2006.01)

A 61K 47/10(2017.01)

A 61K 47/18(2017.01)

A 61K 47/02(2006.01)

A 61K 49/04(2006.01)

20

【F I】

C 12N 15/864100Z

C 12N 7/01 Z N A

C 12N 15/12

A 61K 35/76

A 61P 25/00

A 61K 38/17

A 61K 48/00

A 61K 47/10

30

A 61K 47/18

A 61K 47/02

A 61K 49/04 210

【手続補正書】

【提出日】令和5年2月2日(2023.2.2)

【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

40

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

第1のAAV逆方向末端反復配列、配列番号3の配列を含むP546プロモーター、配列番号1のCLN3ポリペプチドをコードする核酸配列、および第2の逆方向末端反復配列を含む、核酸分子。

【請求項2】

第1のAAV逆方向末端反復配列、配列番号3のヌクレオチド配列を含むP546プロモーター、S V 4 0 イントロン、配列番号1の前記CLN3ポリペプチドをコードする核酸配列、および第2のAAV逆方向末端反復配列を含む、請求項1に記載の核酸分子。

50

【請求項 3】

第1のA A V逆方向末端反復配列、配列番号3の前記ヌクレオチド配列を含むP 5 4 6プロモーター、配列番号1の前記C L N 3ポリペプチドをコードする核酸、ウシ成長ホルモンポリアデニル化ポリA配列、および第2のA A V逆方向末端反復配列を含む、請求項1に記載の核酸分子。

【請求項 4】

前記C L N 3ポリペプチドをコードする前記核酸が、配列番号2と少なくとも90%同一の配列を含む、請求項1～3のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 5】

前記C L N 3ポリペプチドをコードする前記核酸が、配列番号2の核酸配列を含む、請求項1～3のいずれか一項に記載の核酸分子。 10

【請求項 6】

配列番号4の核酸配列と少なくとも90%同一の核酸配列を含む、請求項1～5のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 7】

配列番号4の核酸配列と少なくとも95%同一の核酸配列を含む、請求項1～5のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 8】

配列番号4の核酸配列を含む、請求項1～6のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 9】

前記A A V逆方向末端反復が、A A V 2逆方向末端反復である、請求項4～8のいずれか一項に記載の核酸分子。 20

【請求項 10】

請求項1～9のいずれか一項に記載の核酸分子を含む、自己相補的組換えアデノ随伴ウイルス9(s c A A V 9)。

【請求項 11】

一本鎖ゲノムを含む、請求項10に記載のs c A A V 9。

【請求項 12】

請求項1～9のいずれか一項に記載の核酸分子を含む、r A A V粒子。

【請求項 13】

一本鎖ゲノムを含む、請求項12に記載のr A A V粒子。 30

【請求項 14】

請求項10または11に記載のs c A A V、請求項1～9のいずれか一項に記載の核酸分子、請求項12または13に記載のr A A V 9ウイルス粒子、および薬学的に許容される賦形剤、担体または希釈剤を含む、組成物。

【請求項 15】

前記賦形剤が、非イオン性低浸透圧性化合物、緩衝剤、ポリマー、塩、またはこれらの組み合わせを含む、請求項14に記載の組成物。

【請求項 16】

治療有効量の、請求項10もしくは11に記載のs c A A V、請求項1～9のいずれか一項に記載の核酸分子、請求項12もしくは13に記載のr A A V 9ウイルス粒子、または請求項14もしくは請求項15に記載の組成物を含む、対象におけるC L N 3-バッテン病を治療するための組成物。 40

【請求項 17】

髄腔内、脳室内、脳実質内、静脈内、およびこれらの組み合わせからなる群から選択される経路を介する投与のために製剤化される、請求項16に記載の組成物。

【請求項 18】

髄腔内投与のために製剤化される、請求項16に記載の組成物。

【請求項 19】

脳室内投与のために製剤化される、請求項16に記載の組成物。 50

【請求項 2 0】

静脈内投与のために製剤化される、請求項 1_6 に記載の組成物。

【請求項 2 1】

約 1×10^{12} ~ 約 1×10^{15} v g の前記 r A A V 9 ウィルス粒子を含む、請求項 1_6 または 2_0 に記載の組成物。

【請求項 2 2】

約 6×10^{13} ~ 約 1.2×10^{14} の前記 r A A V 9 ウィルス粒子を含む、請求項 1_6 または 2_1 に記載の組成物。

【請求項 2 3】

前記組成物の投与が、

- 10
(a) 自己蛍光貯蔵物質のリソソーム蓄積の減少または遅延、
(b) A T P シンターゼサブユニット C のリソソーム蓄積の減少または遅延、
(c) グリア活性化 (星状細胞および / またはミクログリア) 活性化の減少または遅延、
(d) 星状細胞増加症の減少または遅延、
(e) M R I によって測定された脳容積損失の減少または遅延、
(f) 発作の発症の減少または遅延、
(g) U B D R S 評価尺度のうちの 1 つ以上における安定化、進行の減少もしくは遅延、
または改善、

から選択される C L N 3 - バッテン病の 1 つ以上の症状を減少させ、前記減少、安定化、または改善が、前記組成物を投与する前の前記対象または未処置の C L N 3 - バッテン病患者と比較してである、請求項 1_6 ~ 2_2 のいずれか一項に記載の組成物。

20

【請求項 2 4】

前記 r A A V 9 ウィルス粒子を投与した後、前記対象が、トレンデレンベルク体位に置かれる、請求項 1_6 ~ 2_3 のいずれか一項に記載の組成物。

30

40

50