

【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 7 月 2 日 (2020.7.2)

【公表番号】特表 2019-520392 (P2019-520392A)

【公表日】令和 1 年 7 月 18 日 (2019.7.18)

【年通号数】公開・登録公報 2019-028

【出願番号】特願 2019-500316 (P2019-500316)

【国際特許分類】

A 6 1 K 38/43 (2006.01)

A 6 1 P 13/02 (2006.01)

A 6 1 P 39/02 (2006.01)

A 6 1 K 47/60 (2017.01)

A 6 1 K 47/68 (2017.01)

A 6 1 K 39/395 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 38/38 (2006.01)

A 6 1 K 38/17 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 38/43

A 6 1 P 13/02 Z N A

A 6 1 P 39/02

A 6 1 K 47/60

A 6 1 K 47/68

A 6 1 K 39/395 Y

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 38/38

A 6 1 K 38/17 1 0 0

A 6 1 K 48/00

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 5 月 19 日 (2020.5.19)

【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】

対象におけるシスチン尿症の治療または予防における使用のための組成物であって、

天然霊長類シスタチオニン - リアーゼ (C G L) のアミノ酸配列 (配列番号: 1 及び 7 ~ 10 を参照) と比較して、前記天然霊長類 C G L 配列の 59 位のスレオニン及び 339 位のバリンを含む少なくとも 2 つの置換を有する、単離された改変霊長類 C G L 酵素、または

前記単離された改変霊長類シスタチオニン - リアーゼ (C G L) 酵素をコードするヌクレオチド配列を含む核酸

を含む、前記組成物。

【請求項 2】

前記酵素が、異種ペプチドセグメントを更に含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

前記異種ペプチドセグメントが、X T E N ペプチド、I g G F c、アルブミン、またはアルブミン結合ペプチドである、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

前記酵素が、ポリエチレングリコール (P E G) に結合している、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 5】

前記酵素が、1 つ以上のリジンまたはシスチン残基を介して P E G に結合している、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 6】

前記対象が、L - シスチン及び / または L - システインを制限した食事に維持される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 7】

前記対象が、メチオニンを制限した食事に維持される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 8】

前記対象が、通常の食事に維持される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記対象がヒト患者である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 10】

前記対象が齧歯類である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 11】

前記組成物が、静脈内投与、皮内投与、動脈内投与、腹腔内投与、病巣内投与、頭蓋内投与、関節内投与、前立腺内投与、胸膜内投与、気管内投与、眼内投与、鼻腔内投与、硝子体内投与、腔内投与、直腸内投与、筋肉内投与、皮下投与、結膜下投与、小胞内投与、粘膜投与、心膜内投与、臍帯内投与、経口投与、吸入、注射、注入、連続注入、標的細胞を直接浸漬する局所灌流、カテーテルを介した投与、または洗浄を介した投与のために製剤化されている、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 12】

前記対象が以前にシスチン尿症の治療を受けており、シスチン尿症の再発を予防するために前記酵素が投与される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 13】

少なくとも第 2 のシスチン尿症療法を更に含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 14】

シスチン尿症の治療または予防のための医薬の製造における、天然霊長類シスタチオニン - リアーゼ (C G L) のアミノ酸配列 (配列番号 : 1 及び 7 ~ 10 を参照) と比較して、前記天然霊長類 C G L 配列の 59 位のスレオニン及び 339 位のバリンを含む少なくとも 2 つの置換を有する、単離された改変霊長類 C G L 酵素、または前記単離された改変霊長類シスタチオニン - リアーゼ (C G L) 酵素をコードするヌクレオチド配列を含む核酸の使用。