

【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】平成 18 年 2 月 2 日 (2006.2.2)

【公表番号】特表 2002-531581 (P2002-531581A)

【公表日】平成 14 年 9 月 24 日 (2002.9.24)

【出願番号】特願 2000-586885 (P2000-586885)

【国際特許分類】

A 6 1 K 38/46 (2006.01)

A 0 1 K 67/027 (2006.01)

A 6 1 K 9/08 (2006.01)

A 6 1 K 9/19 (2006.01)

A 6 1 K 35/20 (2006.01)

A 6 1 K 47/04 (2006.01)

A 6 1 K 47/18 (2006.01)

A 6 1 K 47/26 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/04 (2006.01)

A 6 1 P 11/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 9/26 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 37/54

A 0 1 K 67/027

A 6 1 K 9/08

A 6 1 K 9/19

A 6 1 K 35/20

A 6 1 K 47/04

A 6 1 K 47/18

A 6 1 K 47/26

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 9/04

A 6 1 P 11/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

C 1 2 N 15/00 A

C 1 2 N 9/26

【手続補正書】

【提出日】平成 17 年 12 月 1 日 (2005.12.1)

【手続補正 1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】特許請求の範囲

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】 ポンペ病を有する患者を処置するための薬学的組成物であって、該薬学的組成物が、治療的に有効な量のヒト酸性 グルコシダーゼを含有する、薬学的組成物。

【請求項 2】 患者に、1 週間当たり少なくとも 10 mg / kg 体重で投与されるよ

うに処方される、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 3】 患者に、1 週間当たり少なくとも 60 mg / kg 体重で投与されるように処方される、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 4】 患者に、1 週間当たり少なくとも 120 mg / kg 体重で投与されるように処方される、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 5】 患者に、1 週間当たり単一投薬量の - グルコシダーゼが投与されるように処方される、請求項 1 ~ 4 のいずれかに記載の薬学的組成物。

【請求項 6】 患者に、1 週間当たり 3 投薬量の - グルコシダーゼが投与されるように処方される、請求項 1 ~ 4 のいずれかに記載の薬学的組成物。

【請求項 7】 前記量が、少なくとも 24 週の期間にわたって 1 週間当たりで投与されるように処方される、請求項 1 ~ 4 のいずれかに記載の薬学的組成物。

【請求項 8】 前記 - グルコシダーゼが、静脈内に投与されるように処方される、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 9】 前記 - グルコシダーゼが、トランスジェニック哺乳動物の乳汁中に産生された、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 10】 患者が、乳児性ポンベ病を有する、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 11】 前記患者が、少なくとも 1 歳になるまで生存する、請求項 10 に記載の薬学的組成物。

【請求項 12】 患者が、若年性ポンベ病を有する、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 13】 患者が、成人性ポンベ病を有する、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 14】 前記 - グルコシダーゼが、主に 110 kD 型である、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 15】 患者におけるヒト酸性 グルコシダーゼのレベルをモニタリングする工程と組み合わせた投与のために処方される、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 16】 前記患者において - グルコシダーゼの前記レベルが閾値未満に低下した場合の投与のために処方された、第 2 投薬量のヒト酸性 グルコシダーゼをさらに含有する、請求項 15 に記載の薬学的組成物。

【請求項 17】 前記ヒト グルコシダーゼが静脈内に投与され、そして投与期間の間に投与速度が上昇するように処方される、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 18】 前記投与速度が、前記投与期間の間に少なくとも 10 倍上昇する、請求項 17 に記載の薬学的組成物。

【請求項 19】 前記投与速度が、5 時間の間に少なくとも 10 倍上昇する、請求項 17 に記載の薬学的組成物。

【請求項 20】 患者に、一連の少なくとも 4 投薬量が投与され、各投薬量は前回の投薬量よりも高い強度であるように処方される、請求項 17 に記載の薬学的組成物。

【請求項 21】 前記投薬量が、0.03 ~ 3 mg / kg / 時間の第 1 投薬量、0.3 ~ 12 mg / kg / 時間の第 2 投薬量、1 ~ 30 mg / kg / 時間の第 3 投薬量および 2 ~ 60 mg / kg / 時間の第 4 投薬量である、請求項 20 に記載の薬学的組成物。

【請求項 22】 前記投薬量が、0.1 ~ 1 mg / kg / 時間の第 1 投薬量、1 ~ 4 mg / kg / 時間の第 2 投薬量、3 ~ 10 mg / kg / 時間の第 3 投薬量および 6 ~ 20 mg / kg / 時間の第 4 投薬量である、請求項 21 に記載の薬学的組成物。

【請求項 23】 前記投薬量が、0.25 ~ 4 mg / kg / 時間の第 1 投薬量、0.9 ~ 1.4 mg / kg / 時間の第 2 投薬量、3.6 ~ 5.7 mg / kg / 時間の第 3 投薬量および 7.2 ~ 11.3 mg / kg / 時間の第 4 投薬量である、請求項 22 に記載の薬学的組成物。

【請求項 24】 前記投薬量が、0.3 mg / kg / 時間の第 1 投薬量、1 mg / kg / 時間の第 2 投薬量、4 mg / kg / 時間の第 3 投薬量および 12 mg / kg / 時間の

第4投薬量である、請求項23に記載の薬学的組成物。

【請求項25】 前記第1投薬量、前記第2投薬量、前記第3投薬量および前記第4投薬量が、15分間～8時間の時間にわたって、各々投与される、請求項20～24のいずれかに記載の薬学的組成物。

【請求項26】 前記第1投薬量、前記第2投薬量、前記第3投薬量および前記第4投薬量が、それぞれ、1時間、1時間、0.5時間および3時間の時間にわたって投与される、請求項20～24のいずれかに記載の薬学的組成物。

【請求項27】 滅菌形態の、生理学的に受容可能な緩衝液中にヒト酸性 グルコシダーゼ、ヒト血清アルブミン、および糖を含む、薬学的組成物。

【請求項28】 リン酸ナトリウム緩衝液中にヒト酸性 グルコシダーゼ、ヒト血清アルブミン、およびグルコースを含む、請求項27に記載の薬学的組成物。

【請求項29】 水溶液中に グルコシダーゼ、マンニトールおよびスクロースを含む、薬学的組成物。

【請求項30】 前記糖が、マンニトールおよびスクロースを含み、そしてマンニトールの濃度が前記水溶液の1～3% w/wであり、そしてスクロースの濃度が前記水溶液の0.1～1% w/wである、請求項27に記載の薬学的組成物。

【請求項31】 マンニトールの濃度が2% w/wであり、そしてスクロースの濃度が0.5% w/wである、請求項27に記載の薬学的組成物。

【請求項32】 水溶液中にヒト酸性グルコシダーゼ、マンニトールおよびスクロースを含む薬学的組成物を凍結乾燥することによって產生される、凍結乾燥された組成物。

【請求項33】 薬学的組成物であって、該組成物が、ヒト酸性 - グルコシダーゼ、マンニトール、スクロースおよび水溶液を含む第1組成物を凍結乾燥して第2組成物を產生する工程；ならびに、生理食塩水中で該凍結乾燥された組成物を再構成して第3組成物を產生する工程によって調製される、薬学的組成物。

【請求項34】 前記ヒト酸性 - グルコシダーゼが、前記第1組成物および前記第3組成物の両方において5mg/mlであり、前記マンニトールが、前記第1組成物において2mg/mlであり、前記スクロースが、前記第1組成物において0.5mg/mlであり、そして前記再構成工程において使用される前記生理食塩水が、0.9% w/wである、請求項33に記載の薬学的組成物。