

【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4年6月13日(2022.6.13)

【国際公開番号】WO2020/047368

【公表番号】特表2021-535168(P2021-535168A)

【公表日】令和3年12月16日(2021.12.16)

【出願番号】特願2021-511593(P2021-511593)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00(2006.01)

10

A 6 1 P 21/00(2006.01)

A 6 1 P 25/02(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 P 3/00(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 31/428(2006.01)

A 6 1 K 31/4152(2006.01)

A 6 1 K 38/50(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

20

C 1 2 N 15/864(2006.01)

C 1 2 N 15/55(2006.01)

【F I】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 21/00 Z N A

A 6 1 P 25/02

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 43/00 1 0 7

A 6 1 P 3/00

30

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 31/428

A 6 1 K 31/4152

A 6 1 K 38/50

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/55

【手続補正書】

【提出日】令和4年6月2日(2022.6.2)

40

【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】

A L Sを発症するリスクがある、またはA L Sに罹患している対象における、脊髄中の神経アスパラギン酸の量を増加させる、または脊髄ミトコンドリアにおけるN A A異化作用を増加させる方法であって、前記対象をA L Sについてスクリーニングすることによって

50

前記対象を同定することと、組換えアデノ随伴ウイルス ( r A A V ) ベクターに担持された配列番号 1 の配列と少なくとも 75 % 同一のアミノ酸配列を有する、A S P A またはその機能的断片をコードする核酸を含む治療有効量の組成物を前記対象に投与することと、を含む、方法。

【請求項 2】

前記組成物の前記投与は、前記対象において、脊髄組織における N A A 異化作用を増加させ、運動ニューロンの生存を増強する、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 3】

前記対象に第 2 の治療薬を投与することをさらに含む、請求項 1 または 2 に記載の方法。

【請求項 4】

前記第 2 の治療薬は、前記組成物の前に、後に、またはそれと同時に前記対象に投与される、請求項 3 に記載の方法。

【請求項 5】

前記第 2 の治療薬は、リルゾール、エダラポン、またはそれらの塩もしくは溶媒和物、またはそれらの組み合わせである、請求項 4 に記載の方法。

【請求項 6】

細胞内アスパラギン酸レベルの増加を必要とする患者を同定することにより、筋萎縮性側索硬化症 ( A L S ) の少なくとも 1 つの症状を治療、改善、または逆転させることを必要とする対象においてそれを行うための方法であって、前記対象の少なくとも 1 つの細胞におけるアスパルトアシラーゼ ( A S P A ) のレベルまたは活性を増加させる治療有効量の組成物を前記対象に投与することを含む、方法。

【請求項 7】

前記組成物は遺伝子治療組成物を含む、請求項 6 に記載の方法。

【請求項 8】

前記組成物は、配列番号 1 の配列と少なくとも 75 % 同一のアミノ酸配列を有する、A S P A またはその機能的断片をコードする核酸を含み、好ましくは、前記アミノ酸配列は、配列番号 1 の配列を含む、請求項 6 または 7 に記載の方法。

【請求項 9】

ウイルス形質導入によって前記対象の前記少なくとも 1 つの細胞に前記核酸を導入することを含み、好ましくは、前記組成物には、前記核酸を含むウイルスまたはウイルス様粒子が提供される、請求項 6 から 8 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 10】

前記核酸は、組換えアデノ随伴ウイルス ( r A A V ) ベクター上に担持される、請求項 9 に記載の方法。

【請求項 11】

前記対象の脊髄の少なくとも一部に組成物を投与することを含む、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 12】

前記組成物は、経口、非経口、経皮、経肺、鼻腔内、頬側、髄腔内、および静脈内から選択される経路、好ましくは髄腔内経路、によって投与される、請求項 1 ~ 11 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 13】

前記対象は哺乳動物であり、または、好ましくはヒトである、請求項 1 ~ 12 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 14】

A L S の少なくとも 1 つの症状はミトコンドリア機能障害である、請求項 1 ~ 13 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 15】

r A A V ベクターまたはウイルス様粒子を含む対象の細胞における A S P A のレベルまたは活性を増加させるためのキットであって、前記ウイルスまたはウイルス様粒子は、配列

10

20

30

40

50

番号 1 の配列と少なくとも 75% 同一のアミノ酸配列を有する、A S P A またはその機能的断片をコードする核酸を含む、キット。

10

20

30

40

50