

【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1月5日(2006.1.5)

【公表番号】特表2005-507927(P2005-507927A)
 【公表日】平成17年3月24日(2005.3.24)
 【年通号数】公開・登録公報2005-012
 【出願番号】特願2003-539606(P2003-539606)
 【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)
A 6 1 K 35/76 (2006.01)
A 6 1 P 25/00 (2006.01)
A 6 1 P 25/16 (2006.01)
A 6 1 P 25/18 (2006.01)
A 6 1 P 25/24 (2006.01)
C 1 2 N 7/00 (2006.01)
A 6 1 K 38/00 (2006.01)
C 1 2 N 5/10 (2006.01)
C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 48/00
 A 6 1 K 35/76
 A 6 1 P 25/00
 A 6 1 P 25/16
 A 6 1 P 25/18
 A 6 1 P 25/24
 C 1 2 N 7/00
 A 6 1 K 37/02 Z N A
 C 1 2 N 5/00 B
 C 1 2 N 15/00 A

【手続補正書】

【提出日】平成17年10月14日(2005.10.14)

【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】

被験体においてカテコール作用性ニューロンの変性を阻害するための発現ベクターであって、

Nurr1ポリペプチドをコードする核酸配列を含み、該発現ベクターが、脳においてNurr1の発現を生じる条件下での該被検体への投与のために処方されており、それによって、該被検体におけるカテコール作用性ニューロンの変性が防がれる、発現ベクター

。

【請求項2】

請求項1に記載の発現ベクターであって、前記カテコール作用性ニューロンが、ドパミン作用性である、発現ベクター。

【請求項3】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、前記被検体がヒトである、発現ベクター。

【請求項 4】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、前記被検体が、ドパミン作用性低運動性、疾患、損傷、および化学的障害のうちの 1 つ以上に関係するニューロン変性に罹患している、発現ベクター。

【請求項 5】

請求項 4 に記載の発現ベクターであって、前記被検体が、ニューロン疾患に罹患している、発現ベクター。

【請求項 6】

請求項 5 に記載の発現ベクターであって、前記ニューロン疾患が、ドパミンレベルの低下に関係する、発現ベクター。

【請求項 7】

請求項 5 に記載の発現ベクターであって、前記ニューロン疾患が、パーキンソン病である、発現ベクター。

【請求項 8】

請求項 5 に記載の発現ベクターであって、前記ニューロン疾患が、精神分裂病である、発現ベクター。

【請求項 9】

請求項 5 に記載の発現ベクターであって、前記ニューロン疾患が、躁鬱病である、発現ベクター。

【請求項 10】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、腹側中脳への投与のために処方される、発現ベクター。

【請求項 11】

請求項 10 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、黒質への投与のために処方される、発現ベクター。

【請求項 12】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、定位注射による投与のために処方される、発現ベクター。

【請求項 13】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、ウイルスベクターである、発現ベクター。

【請求項 14】

請求項 13 に記載の発現ベクターであって、前記ウイルスベクターが、アデノ随伴ウイルス (AAV) である、発現ベクター。

【請求項 15】

請求項 14 に記載の発現ベクターであって、前記アデノ随伴ウイルスが、組換えアデノ随伴ウイルス (rAAV) である、発現ベクター。

【請求項 16】

請求項 15 に記載の発現ベクターであって、前記ベクターの全てのアデノ随伴ウイルス遺伝子が、不活化または欠失されている、発現ベクター。

【請求項 17】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、前記 Nurrl ポリペプチドをコードする核酸配列が、少なくとも 1 つの転写調節エレメントに作動可能に連結される、発現ベクター。

【請求項 18】

請求項 17 に記載の発現ベクターであって、前記転写調節エレメントが、プロモーター配列である、発現ベクター。

【請求項 19】

請求項 18 に記載の発現ベクターであって、前記プロモーター配列が、ニューロン特異

的プロモーターである、発現ベクター。

【請求項 20】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、Nurr1 発現が、構成的または調節可能性のいずれかである、発現ベクター。

【請求項 21】

請求項 1 に記載の発現ベクターであって、前記 Nurr1 ポリペプチドが、配列番号 2 または配列番号 4 に示されるアミノ酸配列を含む、発現ベクター。

【請求項 22】

被検体における中枢神経系障害を処置するための発現ベクターであって、Nurr1 ポリペプチドをコードする核酸配列を含み、該発現ベクターは、治療上有効な量での Nurr1 の発現を生じる条件下での該被検体のニューロン細胞への投与のために処方される、発現ベクター。

【請求項 23】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、黒質への投与のために処方される、発現ベクター。

【請求項 24】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、インビボでの投与のために処方される、発現ベクター。

【請求項 25】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、定位注射による投与のために処方される、発現ベクター。

【請求項 26】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記発現ベクターが、ウイルスベクターである、発現ベクター

【請求項 27】

請求項 26 に記載の発現ベクターであって、前記ウイルスベクターが、組換えアデノ随伴ウイルス (AAV) である、発現ベクター。

【請求項 28】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記 Nurr1 ポリペプチドをコードする核酸配列が、少なくとも 1 つの転写調節エレメントに作動可能に連結される、発現ベクター。

【請求項 29】

請求項 28 に記載の発現ベクターであって、前記転写調節エレメントが、ニューロン特異的プロモーター配列である、発現ベクター。

【請求項 30】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記中枢神経系障害が、ドパミン作用性細胞の変性に関係する、発現ベクター。

【請求項 31】

請求項 30 に記載の発現ベクターであって、前記ドパミン作用性細胞の変性が、ドパミン作用性低運動、疾患、損傷、および化学的障害のうちの一つ以上に関係している、発現ベクター。

【請求項 32】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記中枢神経系障害が、パーキンソン病、躁鬱病、および精神分裂病からなる群より選択される、発現ベクター。

【請求項 33】

請求項 22 に記載の発現ベクターであって、前記処置が、ドパミン作用性細胞の変性を阻害する、発現ベクター。

【請求項 34】

請求項 33 に記載の発現ベクターであって、前記阻害が、前記細胞における増加したドパミン生成から生じる、発現ベクター。

【請求項 35】

請求項 22 に記載の 発現ベクター であって、Nurr1 の発現が、チロシンヒドロキシラーゼ活性の増加を引き起こす、発現ベクター。

【請求項 36】

組換え AAV ウイルスで形質導入したニューロン細胞であって、該組換え AAV ウイルスは、少なくとも 1 つの転写調節エレメントに連結した Nurr1 ポリペプチドをコードする核酸を含む、細胞。

【請求項 37】

請求項 36 に記載の細胞であって、ドパミン作用性細胞である、細胞。

【請求項 38】

請求項 37 に記載のドパミン作用性細胞であって、黒質中にある、細胞。

【請求項 39】

請求項 36 に記載の細胞であって、インサイチュにある、細胞。

【請求項 40】

請求項 36 に記載の細胞であって、前記転写調節エレメントが、プロモーターである、細胞。

【請求項 41】

請求項 40 に記載の細胞であって、前記転写調節エレメントが、ニューロン特異的プロモーター配列である、細胞。

【請求項 42】

AAV ウイルスであって、転写制御エレメントおよび翻訳制御エレメントに作動可能に連結した Nurr1 ポリペプチドをコードする遺伝子を含む、AAV ウイルス。