【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3年11月25日(2021.11.25)

【公表番号】特表2020-536939(P2020-536939A)
【公表日】令和2年12月17日(2020.12.17)
【年通号数】公開・登録公報2020-051
【出願番号】特願2020-520799(P2020-520799)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ　45/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　39/395　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/519　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　35/76　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/761　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　9/16　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/02　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/42　(2017.01)
Ａ６１Ｋ　47/30　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/34　(2017.01)
Ａ６１Ｋ　31/436　(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ　45/00
Ａ６１Ｋ　39/395　Ａ
Ａ６１Ｋ　39/395　Ｈ
Ａ６１Ｋ　31/519
Ａ６１Ｋ　35/76
Ａ６１Ｋ　35/761
Ａ６１Ｋ　9/16
Ａ６１Ｋ　47/02
Ａ６１Ｋ　47/42
Ａ６１Ｋ　47/30
Ａ６１Ｋ　47/34
Ａ６１Ｋ　31/436

【手続補正書】
【提出日】令和3年10月12日(2021.10.12)
【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】
ウイルス導入ベクター、免疫抑制剤を含む合成ナノキャリア、および抗ＩｇＭ剤を含む、組成物。
【請求項２】
抗ＩｇＭ剤が、ＣＤ１０、ＣＤ１９、ＣＤ２０、ＣＤ２２、ＣＤ２７、ＣＤ３４、ＣＤ４０、ＣＤ７９ａ、ＣＤ７９ｂ、ＣＤ１２３、ＣＤ１７９ｂ、ＦＬＴ－３、ＲＯＲ１、ＢＲ３、ＢＡＦＦ、またはＢ７ＲＰ－１に特異的に結合する、抗体またはそれらのフラグメント；チロシンキナーゼ阻害剤、例として、ｓｙｋ阻害剤、ＢＴＫ阻害剤、またはＳＲＣ

タンパク質チロシンキナーゼ阻害剤；ＰＩ３Ｋ阻害剤；ＰＫＣ阻害剤；ＡＰＲＩＬアンタゴニスト；ミゾリビン；トファシチニブ；および、テトラサイクリン、から選択される、請求項１に記載の組成物。

【請求項３】

抗ＩｇＭ剤が、（ａ）抗ＢＡＦＦ抗体またはその抗原結合フラグメントである、または（ｂ）ＢＴＫ阻害剤、例としてイブルチニブである、請求項２に記載の組成物。

【請求項４】

ウイルス導入ベクターが、レトロウイルス導入ベクター、アデノウイルス導入ベクター、レンチウイルス導入ベクターまたはアデノ随伴ウイルス導入ベクターである、請求項１～３のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項５】

ウイルス導入ベクターが、（ａ）アデノウイルス導入ベクターであり、ならびに、アデノウイルス導入ベクターが、サブグループＡ、サブグループＢ、サブグループＣ、サブグループＤ、サブグループＥまたはサブグループＦのアデノウイルス導入ベクターである、（ｂ）レンチウイルス導入ベクターであり、ならびに、レンチウイルス導入ベクターが、ＨＩＶ、ＳＩＶ、ＦＩＶ、ＥＩＡＶまたはヒツジレンチウイルスベクターである、または（ｃ）アデノ随伴ウイルス導入ベクターであり、ならびに、アデノ随伴ウイルス導入ベクターが、ＡＡＶ１、ＡＡＶ２、ＡＡＶ５、ＡＡＶ６、ＡＡＶ６．２、ＡＡＶ７、ＡＡＶ８、ＡＡＶ９、ＡＡＶ１０またはＡＡＶ１１アデノ随伴ウイルス導入ベクターである、請求項４に記載の組成物。

【請求項６】

（ａ）ウイルス導入ベクターが、キメラウイルス導入ベクターである、任意にここで、キメラウイルス導入ベクターが、ＡＡＶアデノウイルス導入ベクターである、（ｂ）ウイルス導入ベクターの導入遺伝子が、遺伝子治療導入遺伝子、遺伝子編集導入遺伝子、エクソンスキッピング導入遺伝子または遺伝子発現調節導入遺伝子を含む、請求項１～５のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項７】

合成ナノキャリアが、脂質ナノ粒子、ポリマーナノ粒子、金属ナノ粒子、界面活性剤ベースのエマルション、デンドリマー、バッキーボール、ナノワイヤー、ウイルス様粒子またはペプチドもしくはタンパク質粒子を含む、請求項１～６のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項８】

合成ナノキャリアが、ポリマーナノ粒子を含む、任意にここで（ａ）非メトキシ末端のプルロニックポリマーではないポリマーを含む、および／または（ｂ）ポリマーナノ粒子が、ポリエステル、ポリエーテルに接着したポリエステル、ポリアミノ酸、ポリカーボネート、ポリアセタール、ポリケタール、多糖、ポリエチルオキサゾリンまたはポリエチレンイミンを含む、たとえばここで、ポリエステルが、ポリ（乳酸）、ポリ（グリコール酸）、ポリ（乳酸－コ－グリコール酸）またはポリカプロラクトンを含む、および／または、ポリマーナノ粒子が、ポリエステルおよびポリエーテルに接着したポリエステルを含む、たとえばここで、ポリエーテルが、ポリエチレングリコールまたはポリプロピレングリコールを含む、請求項７に記載の組成物。

【請求項９】

合成ナノキャリアの集団の動的光散乱を使用して得られた粒子サイズ分布の平均が、（ａ）１１０ｎｍ、１５０ ｎｍ、２００ｎｍ、または２５０ｎｍより大きい、および／または（ｂ）５μｍ、４μｍ、３μｍ、２μｍ、１μｍ、５００ｎｍ、４５０ ｎｍ、４００ ｎｍ、３５０ ｎｍ、３００ ｎｍより小さい直径である、請求項１～８のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項１０】

合成ナノキャリア中に含まれる免疫抑制剤の負荷量が、合成ナノキャリア全体の平均で、（ａ）０．１％と５０％（重量／重量）、（ｂ）０．１％と２５％（重量／重量）、（

ｃ）１％と２５％（重量／重量）、（ｄ）２％と２５％（重量／重量）、（ｅ）２％と２０％（重量／重量）、（ｆ）２％と１５％（重量／重量）、または（ｇ）２％と１０％（重量／重量）との間である、請求項１～９のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項１１】

免疫抑制剤が、（ａ）ＮＦ－ｋＢ経路の阻害剤である、または（ｂ）ｍＴＯＲ阻害剤である、または（ｃ）ラパマイシンもしくはラパマイシンアナログである、請求項１～１０のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項１２】

合成ナノキャリアの集団のアスペクト比が、１：１、１：１．２、１：１．５、１：２、１：３、１：５、１：７または１：１０より大きい、請求項１～１１のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項１３】

（ａ）請求項１～１２のいずれか一項に記載の組成物、および使用のための説明書、または（ｂ）請求項１および４～６のいずれか一項に記載のウイルス導入ベクター、請求項１、７～１０、および１２のいずれか一項に記載の合成ナノキャリア、請求項１～３のいずれか一項に記載の抗ＩｇＭ剤、および使用のための説明書を含む、任意にここで、使用のための説明書が、本明細書に記載の方法のいずれか１つを実行するための説明書を含む、キット。

【請求項１４】

（ａ）対象へのウイルス導入ベクター、免疫抑制剤を含む合成ナノキャリア、および抗ＩｇＭ剤の併用投与によって、対象における抗ウイルス導入ベクター減弱化応答を確立すること、任意にここで、抗ウイルス導入ベクター減弱化応答が、ウイルス導入ベクターに対するＩｇＭ応答である、たとえばここで、抗ウイルス導入ベクター減弱化応答が、更に、ウイルス導入ベクターに対するＩｇＧ応答を含む；または

（ｂ）ウイルス導入ベクター、免疫抑制剤を含む合成ナノキャリア、および抗ＩｇＭ剤を、繰り返し、併用して、対象に投与することによって、対象におけるウイルス導入ベクターの導入遺伝子発現を拡大すること、

を含む方法における使用のための、ウイルス導入ベクター、免疫抑制剤を含む合成ナノキャリア、および抗ＩｇＭ剤。

【請求項１５】

（ａ）ウイルス導入ベクター、免疫抑制剤を含む合成ナノキャリア、および／または抗ＩｇＭ剤の併用投与が、繰り返される、および／または（ｂ）ウイルス導入ベクターが、請求項１、４～６、１３、および１４のいずれか一項に記載のとおりである、および／または（ｃ）合成ナノキャリアが、請求項１、７～１０、および１２～１４のいずれか一項に記載のとおりである、および／または（ｄ）抗ＩｇＭ剤が、請求項１～３、１３、および１４のいずれか一項に記載のとおりである、および／または（ｅ）併用投与が、同時投与である、および／または（ｆ）ウイルス導入ベクターおよび／または合成ナノキャリアが、静脈内に投与される、および／または（ｇ）抗ＩｇＭ剤が、腹腔内に投与される、請求項１４に記載の使用のための、ウイルス導入ベクター、免疫抑制剤を含む合成ナノキャリア、および／または抗ＩｇＭ剤。