

【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1部門第1区分

【発行日】平成30年7月26日(2018.7.26)

【公表番号】特表2017-513500(P2017-513500A)

【公表日】平成29年6月1日(2017.6.1)

【年通号数】公開・登録公報2017-020

【出願番号】特願2016-564019(P2016-564019)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/09	(2006.01)
A 6 1 K	38/00	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
A 6 1 K	35/761	(2015.01)
A 6 1 P	29/00	(2006.01)
A 6 1 P	37/00	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
C 1 2 N	7/01	(2006.01)

【F I】

C 1 2 N	15/00	Z N A A
A 6 1 K	37/02	
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	45/00	
A 6 1 K	31/7088	
A 6 1 K	35/761	
A 6 1 P	29/00	
A 6 1 P	37/00	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 P	25/00	
C 1 2 N	7/01	

【手続補正書】

【提出日】平成30年5月8日(2018.5.8)

【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】

哺乳動物の肝臓の1以上の細胞において核酸セグメントを発現することができるプロモーターに作動可能に結合した第1の自己免疫疾患治療用分子をコードする核酸セグメントを含むポリヌクレオチドを含む、組換えアデノ随伴ウイルス(rAAV)核酸ベクター。

【請求項2】

核酸セグメントが、哺乳動物のミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質(MOG)、ミエリン塩基性タンパク質(MBP)またはプロテオリピドタンパク質(PLP)をコードする、請求項1記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項3】

核酸セグメントが、ヒトのミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質（MOG）、ミエリン塩基性タンパク質（MBP）またはプロテオリピドタンパク質（PLP）をコードする、請求項1記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項4】

核酸セグメントが、配列番号:1、2、3、9、11、13、15、17、19、21、23、25、27、29、31、33または35に記載する少なくとも20アミノ酸の連續した配列を含む、生物学的に活性なミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質（MOG）、ミエリン塩基性タンパク質（MBP）またはプロテオリピドタンパク質（PLP）をコードする、請求項2または3記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項5】

核酸セグメントが、配列番号:1、2、3、9、11、13、15、17、19、21、23、25、27、29、31、33または35の配列に対して少なくとも95%同一であるアミノ酸配列を含む、生物学的に活性なミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質（MOG）、ミエリン塩基性タンパク質（MBP）またはプロテオリピドタンパク質（PLP）をコードする、請求項4記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項6】

核酸セグメントが、各々、配列番号:1、配列番号:2または配列番号:3に記載の少なくとも20アミノ酸の連續した配列を含む、生物学的に活性なミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質（MOG）、ミエリン塩基性タンパク質（MBP）またはプロテオリピドタンパク質（PLP）をコードする、請求項2記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項7】

核酸セグメントが、配列番号:1、配列番号:2または配列番号:3の配列に対して少なくとも95%同一であるアミノ酸配列を含む、生物学的に活性なミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質（MOG）、ミエリン塩基性タンパク質（MBP）またはプロテオリピドタンパク質（PLP）をコードする、請求項6記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項8】

核酸セグメントが、さらに、治療用分子をコードする核酸セグメントに作動可能に連結したエンハンサー、転写後調節配列、ポリアデニル化シグナルまたはそれらのいずれかの組合せを含む、請求項1ないし7のいずれか1項に記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項9】

プロモーターが、哺乳動物の細胞-特異的または哺乳動物の組織-特異的プロモーターである、請求項1ないし8のいずれか1項に記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項10】

核酸セグメントが、さらに、ポリペプチド、ペプチド、リボザイム、ペプチド核酸、siRNA、RNAi、アンチセンス・オリゴヌクレオチド、アンチセンス・ポリヌクレオチド、抗体、抗原結合フラグメントまたはそれらのいずれかの組合せをコードするまたは発現する、請求項1ないし9のいずれか1項に記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項11】

核酸セグメントが、さらに、哺乳動物における自己免疫疾患の1以上の症状を治療または改善することにおいて有効である第2の異なる治療用分子をさらにコードする、請求項10記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項12】

自己免疫疾患が多発性硬化症である、請求項11記載のrAAV核酸ベクター。

【請求項13】

請求項1ないし12のいずれか1項に記載のrAAV核酸ベクターを含むrAAV粒子。

【請求項14】

治療上有効量の選択した治療剤を必要とする哺乳動物に提供するための治療上有効量の選択した治療剤を含む医薬組成物であって、一定量の請求項1ないし12のいずれか1項に記載のrAAV核酸ベクターまたは請求項13記載のrAAV粒子が治療上有効量のコードされた治療用分子を哺乳動物に提供するのに有効な時間提供されるように哺乳動物に全身投与する、

医薬組成物。**【請求項 1 5】**

哺乳動物における炎症性疾患の1以上の症状を治療または改善する医薬組成物であって、哺乳動物における自己免疫疾患の1以上の症状を治療するまたは改善するのに十分な量および時間、請求項1ないし12のいずれか1項に記載のrAAV核酸ベクターまたは請求項13記載のrAAV粒子が提供されるように哺乳動物に全身投与する、医薬組成物。

【請求項 1 6】

哺乳動物が少なくとも最初の自己免疫異常を有することが疑われるか、進展しているリスクがあるか、または診断されている、請求項14記載の医薬組成物。

【請求項 1 7】

自己免疫疾患が、多発性硬化症、多発硬化または散在性脳脊髄炎である、請求項15記載の医薬組成物。

【請求項 1 8】

哺乳動物が、新生児動物、幼齢動物、未熟動物または若年成体動物である、請求項16記載の医薬組成物。

【請求項 1 9】

哺乳動物における治療用分子の產生が、CNS炎症を軽減し、脱髓を阻害し、1以上のニューロタンパク質に対する免疫寛容を再構築し、内在性抗原 - 特異的調節性T細胞の產生を刺激し、またはそれらのいずれかの組合せである、請求項14ないし17のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項 2 0】

rAAVベクターが、アゴニスト、アンタゴニスト、抗 - アポトーシス因子、インヒビター、受容体、サイトカイン、細胞毒素、赤血球産生剤、糖タンパク質、成長因子、成長因子受容体、ホルモン、ホルモン受容体、インターフェロン、インターロイキン、インターロイキン受容体、神経成長因子、神経活性ペプチド、神経活性ペプチド受容体、プロテアーゼ、プロテアーゼ・インヒビター、タンパク質デカルボキシラーゼ、タンパク質キナーゼ、タンパク質キナーゼインヒビター、酵素、受容体結合タンパク質、輸送タンパク質またはそれらのインヒビター、セロトニン受容体またはその取込みインヒビター、セルピン、セルピン受容体、腫瘍抑制因子、化学療法剤またはそれらのいずれかの組合せよりなる群から選択される第2の異なる治療用分子をコードする、請求項14ないし18のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】図面

【補正対象項目名】図 3

【補正方法】変更

【補正の内容】

【図3】

