

【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20年5月29日(2008.5.29)

【公表番号】特表2004-525858(P2004-525858A)

【公表日】平成16年8月26日(2004.8.26)

【年通号数】公開・登録公報2004-033

【出願番号】特願2001-579775(P2001-579775)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 9/127 (2006.01)

A 6 1 K 9/51 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 39/395 (2006.01)

A 6 1 K 47/48 (2006.01)

A 6 1 P 5/48 (2006.01)

A 6 1 P 25/16 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 K 38/28 (2006.01)

A 6 1 K 38/00 (2006.01)

A 6 1 K 38/16 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 9/127

A 6 1 K 9/51

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 39/395 L

A 6 1 K 47/48

A 6 1 P 5/48

A 6 1 P 25/16

A 6 1 P 35/00

A 6 1 K 37/26

A 6 1 K 37/22

A 6 1 K 37/14

【手続補正書】

【提出日】平成20年4月8日(2008.4.8)

【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】

遺伝子を脳血液脳関門および脳細胞膜を横切って送達するための受容体特異的リボソームであり；

外表面および内部コンパートメントを有するリボソーム；

物質をコードするための十分な量の遺伝情報を含み、前記リボソームの内部コンパートメント内にある遺伝子；

複数の血液脳関門および脳細胞膜ターゲティング物質；および

おのこのターゲット物質が少なくとも結合物質の一つにより前記リボソームの外表面に連結されている複数の前記結合物質を含む前記リボソーム。

【請求項 2】

リボソームの外表面が 200 ナノメートルより小さい直径を有する球を定義する、請求項 1 に記載の受容体特異的リボソームであって、
遺伝子が脳由来神経栄養因子、チロシンヒドロキシラーゼ、芳香族アミノ酸デカルボキシラーゼ、 β -グルクロニダーゼ、ヘキサミニダーゼ A、チミジンキナーゼをコードする遺伝子、およびアンチセンス RNA をコードする遺伝子からなる群から選択される治療薬をコードするか；遺伝子の分子量が 30,000 ダルトンより大きいか、または該遺伝子が少なくとも 100 ヌクレオチドを含むか；5 から 1000 の間の血液脳関門または脳細胞膜ターゲット物質がリボソームの表面に結合しているか；25 から 40 の間の血液脳関門または脳細胞膜ターゲット物質が前記リボソームの表面に結合しているか；結合物質がポリエチレングリコール、スフィンゴミエリンおよび有機ポリマーからなる群から選択されるか；結合物質の分子量が 1000 から 50,000 ダルトンの間にあるか；または血液脳関門または脳細胞膜ターゲット物質がインスリン、トランスフェリン、インスリン様成長因子 (IGF)、レプチン、低密度リポ蛋白質 (LDL)、およびこれらの内因性ペプチドを模倣し、そして血液脳関門および脳細胞膜上のインスリン、トランスフェリン、IGF、レプチン、または LDL 受容体に結合する、対応するペプチド類似モノクローナル抗体からなる群から選択される
請求項 1 に記載の受容体特異的リボソーム。

【請求項 3】

遺伝子がプラスミド中にある、請求項 1 に記載の受容体特異的リボソーム。

【請求項 4】

a) 外表面および内部コンパートメントを有するリボソーム；
物質をコードするための十分な量の遺伝情報を含み、前記リボソームの内部コンパートメント内にある遺伝子；
複数の血液脳関門ターゲット物質；
おのこのターゲット物質が少なくとも結合物質の一つにより前記リボソームの外表面に連結されている、複数の前記結合物質；を含む受容体特異的リボソーム；および
b) 前記受容体特異的リボソームのための薬剂的に受容できるキャリアを含む医薬製剤。

【請求項 5】

特異的受容体を有する細胞に治療用遺伝子を送達するためのナノコンテナーであって：
外表面および内部コンパートメントを有するナノコンテナー；
薬剤物質をコードするための十分な量の遺伝情報を含み、前記ナノコンテナーの内部コンパートメント内にある遺伝子；
前記細胞上にある受容体を標的にすることができる、複数の受容体特異的ターゲット物質；および
おのこのターゲット物質が少なくとも結合物質の一つにより前記ナノコンテナーの外表面に連結されている、複数の前記受容体特異的ターゲット物質を含む前記受容体特異的ナノコンテナー。

【請求項 6】

特異的受容体を有する前記細胞が脳、肝臓、肺および脾臓からなる細胞の群から選択される、請求項 5 に記載の受容体特異的ナノコンテナー。