

【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】令和 2 年 9 月 3 日 (2020.9.3)

【公開番号】特開 2020-28308 (P2020-28308A)

【公開日】令和 2 年 2 月 27 日 (2020.2.27)

【年通号数】公開・登録公報 2020-008

【出願番号】特願 2019-217747 (P2019-217747)

【国際特許分類】

C 1 2 N 7/01 (2006.01)

C 1 2 N 1/15 (2006.01)

C 1 2 N 1/19 (2006.01)

C 1 2 N 1/21 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/62 (2006.01)

C 1 2 N 15/34 (2006.01)

A 6 1 P 27/06 (2006.01)

A 6 1 P 9/10 (2006.01)

A 6 1 P 3/10 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 K 35/761 (2015.01)

A 6 1 K 38/02 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 38/18 (2006.01)

C 0 7 K 14/075 (2006.01)

C 0 7 K 19/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 7/01 Z N A

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 15/62 Z

C 1 2 N 15/34

A 6 1 P 27/06

A 6 1 P 9/10

A 6 1 P 3/10

A 6 1 P 27/02

A 6 1 K 35/761

A 6 1 K 38/02

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 38/18

C 0 7 K 14/075

C 0 7 K 19/00

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 7 月 27 日 (2020.7.27)

【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】

眼疾患を治療するための薬学的組成物であって、

a) 組換えアデノ関連ウイルス (r A A V) ビリオンであって、

i) 10 アミノ酸長でありアミノ酸配列 L A L G E T T R P A (配列番号 45) を有するペプチド挿入を含み、前記挿入の部位が A A V 2 の V P 1 のアミノ酸 570 ~ 611 に対応するアミノ酸の間の位置ないしは別の A A V 血清型のキャプシドタンパク質内の対応する位置の 2 つの隣接するアミノ酸の間に位置する、変異体 A A V キャプシドタンパク質と、

i i) 抗血管新生ポリペプチドまたは網膜細胞の機能を高めるポリペプチドであるポリペプチドをコードするヌクレオチド配列を含む異種核酸とを含む、組換えアデノ関連ウイルス (r A A V) ビリオンと、

b) 薬学的に許容される賦形剤と含有する、薬学的組成物。

【請求項 2】

前記挿入部位が、A A V 2 の V P 1 のアミノ酸 587 と 588 に対応するアミノ酸の間あるいは別の A A V 血清型のキャプシドタンパク質内の対応する位置に位置する、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 3】

前記変異体 A A V キャプシドタンパク質が、変異体 A A V 2 キャプシドタンパク質である、請求項 1 又は請求項 2 に記載の薬学的組成物。

【請求項 4】

前記 A A V 2 キャプシドタンパク質が配列 N L A L G E T T R P A R を含むように、前記挿入がアミノ酸配列 L A L G E T T R P A (配列番号 45) からなる、請求項 3 に記載の薬学的組成物。

【請求項 5】

前記変異体キャプシドタンパク質が、対応する親 A A V キャプシドタンパク質を含む A A V ビリオンによる網膜細胞の感染性と比較して、前記 r A A V ビリオンにより増加した網膜細胞の感染性を付与する、請求項 1 から 4 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 6】

前記ポリペプチドが、可溶性血管内皮成長因子 (V E G F) 受容体、V E G F 結合抗体、または可溶性 F 1 t ポリペプチドを含む F c 融合ポリペプチドである、請求項 1 から 5 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 7】

前記ポリペプチドが、可溶性 F 1 t ポリペプチドを含む F c 融合ポリペプチドである、請求項 1 から 5 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 8】

前記ポリペプチドが、錐体光受容体 c G M P ゲートカチオンチャネル サブユニット (C N G A 3) または錐体光受容体 c G M P ゲートカチオンチャネル サブユニット (C N G B 3) である、請求項 1 から 5 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 9】

前記ポリペプチドが、L - オブシン、M - オブシンまたは S - オブシンである、請求項 1 から 5 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 10】

前記組成物が、約 $10^6 \sim 10^{15}$ の r A A V ビリオンを含む、請求項 1 から 9 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 11】

前記組成物が、約 $10^8 \sim 10^{12}$ の r A A V ビリオンを含む、請求項 1 から 9 のい

れか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 1 2】

前記治療が、眼内注入による、請求項 1 から 1 1 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 1 3】

前記治療が、硝子体内注入による、請求項 1 から 1 1 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 1 4】

前記眼疾患が、緑内障、網膜色素変性症、黄斑変性症、網膜分離症、レーバー先天黒内障、糖尿病性網膜症、色覚異常、網膜中心静脈閉塞症、網膜静脈分枝閉塞症、または色覚障害である、請求項 1 から 1 3 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 1 5】

前記眼疾患が、加齢に関連した滲出性黄斑変性症である、請求項 1 から 1 3 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。

【請求項 1 6】

前記眼疾患が、糖尿病性黄斑浮腫である、請求項 1 から 1 3 のいずれか一項に記載の薬学的組成物。