

【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6年11月19日(2024.11.19)

【国際公開番号】WO2022/125489

【公表番号】特表2023-552443(P2023-552443A)

【公表日】令和5年12月15日(2023.12.15)

【年通号数】公開公報(特許)2023-236

【出願番号】特願2023-534292(P2023-534292)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 31/706(2006.01)

A 6 1 K 31/57(2006.01)

A 6 1 K 39/395(2006.01)

A 6 1 P 9/00(2006.01)

A 6 1 P 21/00(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

10

【F I】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 31/706

A 6 1 K 31/57

A 6 1 K 39/395 N

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 21/00

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/12 Z N A

20

30

【手続補正書】

【提出日】令和6年11月11日(2024.11.11)

【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】

ダノン病に罹患している若しくはダノン病のリスクがあると特定された、及び/又は LAMP-2 遺伝子の1つ以上のアイソフォームに不活性化変異を有すると特定された対象におけるダノン病の治療における使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物であって、

40

治療有効量の、カプシド及びベクターゲノムを含む組換えアデノ随伴ウイルス(rAAV)ピリオンを含み、

前記ベクターゲノムが、LAMP-2タンパク質、好ましくはLAMP-2Bタンパク質をコードするポリヌクレオチド配列を含む、

前記使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項2】

前記治療有効量が、前記対象の体重1キログラム(kg)あたり約 2×10^{14} ベクタ

50

ーゲノム (v g) 未満、約 1.5×10^{14} v g 未満、約 1×10^{14} v g 未満、少なくとも約 1×10^{12} v g、少なくとも約 1×10^{13} v g、約 6.7×10^{13} v g、約 1.1×10^{14} v g、又は約 2.0×10^{14} v g である、請求項 1 に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 3】

前記医薬組成物が、有効量の (i) タクロリムス若しくはシロリムス；(ii) リツキシマブ；(iii) エクリズマブ；(iv) コルチコステロイド、任意選択的に、デキサメタゾン、メチルプレドニゾン、若しくはプレドニゾンから選択されるコルチコステロイド；又は (v) (i) ~ (iv) の任意の組み合わせと組み合わせて使用することを特徴とする、請求項 1 又は 2 に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

10

【請求項 4】

前記医薬組成物が、有効量のエクリズマブと組み合わせて使用することを特徴とし、前記対象が、非典型溶血性尿毒症症候群 (a H U S)、任意選択的に、可逆性血小板減少症及び / 又は急性腎障害 (A K I) をもたらす a H U S のリスクがある、請求項 3 に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 5】

前記医薬組成物が、有効量のタクロリムスと組み合わせて使用する前に、有効量のコルチコステロイドと組み合わせて使用することを特徴とする、請求項 3 に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 6】

前記対象が、任意選択的に 8 ~ 14 歳及び / 若しくは 15 ~ 17 歳の若年対象である、任意選択的に 0 ~ 8 歳の小児対象である、又は任意選択的に 18 歳以上の成人対象である、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

20

【請求項 7】

前記治療有効量の前記 A A V が、静脈内投与される、直接心臓注射により投与される、又は腹腔内注射により投与される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 8】

前記医薬組成物が、

- a) 前記 A A V による心筋細胞及び / 若しくは骨格筋の形質導入、
- b) 任意選択的に心筋細胞及び / 若しくは骨格筋における、LAMP-2B をコードする外因性リボ核酸ポリヌクレオチドの発現及び / 若しくは外因性 LAMP-2B タンパク質の発現、
- c) 1 つ以上のダノン病関連組織学的異常、任意選択的に自己貪食空胞若しくは筋原線維錯綜配列の補正若しくは改善、
- d) 心筋細胞分子マーカー発現の補正若しくは改善、並びに / 又は
- e) 心筋細胞組織学の補正若しくは改善

のうちの 1 つ以上をもたらす、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

30

40

【請求項 9】

前記医薬組成物が、

- a) 心血管病態生理学、X 線評価、及び / 若しくは、心肺運動 / 生理学的パラメータの持続的改善若しくは安定化、
- b) LAMP2B 遺伝子及び / 若しくはタンパク質発現の補正、
- c) ダノン病関連組織学的異常の改善、並びに / 又は
- d) A A V に対する耐容免疫応答

のうちの 1 つ以上をもたらす、請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 10】

50

前記医薬組成物が、

a) 治療下で発現した有害事象 (T E A E) 及び S A E の低い発生率及び / 又は強度、
b) 心臓移植、植込み型除細動器若しくはペースメーカー留置、心臓伝導異常に対する電気生理学的切除術、又は、心不全によるその後の入院を含む、心臓インターベンションの低い発生率、

c) A A V、任意選択的に A A V 及び / 又は L A M P - 2 B タンパク質に反応性の抗体又は T リンパ球に対する低い免疫応答、

d) 肝毒性の低い発生率及び / 又は強度、任意選択的に肝トランスアミナーゼ (A S T 及び A L T)、G G T、ビリルビン、及び A L P の小さな変化、並びに / あるいは

e) 血小板数、プロトロンビン時間 (P T、若しくは国際標準化比 (I N R))、活性化部分トロンボプラスチン時間 (a P T T)、フィブリノゲン、D - ダイマー、トロンビン - アンチトロンビン複合体 (T A T)、及び補体成分 (補体 3 (C 3)、補体 4 (C 4))、及び血清膜侵襲複合体 (s C 5 b - 9) のベースラインからの変化に基づく、h 凝固障害の低い発生率及び / 又は強度

のうちの 1 つ以上をもたらす、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 1 1】

前記 A A V が、プロモーターに作動可能に連結された前記 L A M P - 2 B タンパク質をコードする前記ポリヌクレオチド配列を含む発現カセットを含み、かつ、

(i) 前記ポリヌクレオチド配列が配列番号 2 に対する少なくとも 9 5 % の同一性を共有する、配列番号 2 を含む、若しくは配列番号 2 からなる、及び / 又は (ii) 前記 L A M P - 2 B タンパク質が配列番号 1 に対する少なくとも 9 5 % の同一性を共有する、配列番号 1 を含む、若しくは配列番号 1 からなる、

請求項 1 ~ 1 0 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 1 2】

前記ベクターゲノムがプロモーターを含み、かつ

前記プロモーターが C A G プロモーターである、又は

前記プロモーターが C A G プロモーターであり、かつエンハンサー / プロモーター領域を含み、前記エンハンサー / プロモーター領域が、配列番号 2 2 に対する少なくとも 9 5 % の同一性を共有する、配列番号 2 2 を含む、若しくは配列番号 2 2 からなる、

請求項 1 ~ 1 1 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 1 3】

(i) 前記発現カセットが、5 から 3 の順に、

(a) 配列番号 2 2 を含むエンハンサー / プロモーター領域、

(b) 配列番号 3 を含む、前記 L A M P - 2 B タンパク質をコードする前記ポリヌクレオチド配列、

(c) 配列番号 2 7 を含む 3 U T R 配列、及び / 若しくは

(d) 配列番号 7 を含むポリアデニル化配列

を含む、

(ii) 前記発現カセットが、(a) 配列番号 1 1 を含む 5 I T R と、(b) 配列番号 1 2 を含む 3 I T R とに隣接している、又は

(iii) 前記発現カセットが配列番号 8 を含む、

請求項 1 1 又は 1 2 に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 1 4】

前記カプシドが A A V 9 カプシドである、又は

前記カプシドが A A V 9 カプシドであり、かつ前記 A A V 9 カプシドが、配列番号 2 8 のアミノ酸 1 ~ 7 3 6、配列番号 2 8 のアミノ酸 1 3 8 ~ 7 3 6、若しくは配列番号 2 8 のアミノ酸 2 0 3 ~ 7 3 6 を含む 1 つ以上のカプシドタンパク質を含む、

10

20

30

40

50

請求項 1 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

【請求項 1 5】

請求項 1 ~ 1 4 のいずれか一項に記載の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物と、ダノン病の治療における使用のための説明書と、を含む、キット。

【請求項 1 6】

前記キットが、リツキシマブ、タクロリムス、エクリズマブ、及びコルチコステロイドのうちの 1 つ以上を含む 1 つ以上の単位用量、医薬組成物、又は組成物を更に含む、請求項 1 5 に記載のキット。

【手続補正 2】

10

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 0 4 8

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 0 4 8】

[本発明 1 0 0 1]

ダノン病に罹患している若しくはダノン病のリスクがあると特定された、及び/又は LAMP - 2 遺伝子の 1 つ以上のアイソフォームに不活性化変異を有すると特定された対象におけるダノン病を治療するための方法であって、

治療有効量の、カプシド及びベクターゲノムを含む組換えアデノ随伴ウイルス (rAAV) ビリオンを、前記対象に投与することを含み、

20

前記ベクターゲノムが、LAMP - 2 タンパク質、好ましくは LAMP - 2 B タンパク質をコードするポリヌクレオチド配列を含む、

前記方法。

[本発明 1 0 0 2]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 キログラム (kg) あたり約 2×10^{-14} ベクターゲノム (vg) 未満である、本発明 1 0 0 1 の方法。

[本発明 1 0 0 3]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 kg あたり約 1.5×10^{-14} vg 未満である、本発明 1 0 0 1 の方法。

30

[本発明 1 0 0 4]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 kg あたり約 1×10^{-14} vg 未満である、本発明 1 0 0 1 の方法。

[本発明 1 0 0 5]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 kg あたり少なくとも約 1×10^{-12} vg である、本発明 1 0 0 1 ~ 1 0 0 4 のいずれかの方法。

[本発明 1 0 0 6]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 kg あたり少なくとも約 1×10^{-13} vg である、本発明 1 0 0 1 ~ 1 0 0 4 のいずれかの方法。

[本発明 1 0 0 7]

40

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 kg あたり約 6.7×10^{-13} vg である、本発明 1 0 0 1 の方法。

[本発明 1 0 0 8]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 kg あたり約 1.1×10^{-14} vg である、本発明 1 0 0 1 の方法。

[本発明 1 0 0 9]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 kg あたり約 2.0×10^{-14} vg である、本発明 1 0 0 1 の方法。

[本発明 1 0 1 0]

有効量のタクロリムスを前記対象に投与することを更に含む、本発明 1 0 0 1 ~ 1 0 0

50

9のいずれかの方法。

[本発明1011]

有効量のリツキシマブを前記対象に投与することを更に含む、本発明1001~1009のいずれかの方法。

[本発明1012]

有効量のタクロリムスを前記対象に投与することと、有効量のリツキシマブを前記対象に投与することと、を含む、本発明1001~1009のいずれかの方法。

[本発明1013]

有効量のエクリズマブを前記対象に投与することを含む、本発明1001~1009のいずれかの方法。

[本発明1014]

有効量のリツキシマブを前記対象に投与すること、有効量のタクロリムスを前記対象に投与すること、及び/又は有効量のエクリズマブを前記対象に投与することを更に含む、本発明1001~1009のいずれかの方法。

[本発明1015]

前記対象は、非典型溶血性尿毒症症候群(aHUS)、任意選択的に、可逆性血小板減少症及び/又は急性腎障害(AKI)をもたらすaHUSのリスクがある、本発明1013の方法。

[本発明1016]

有効量のコルチコステロイドを前記対象に投与することを更に含む、本発明1001~1015のいずれかの方法。

[本発明1017]

有効量のタクロリムスを投与する前に、有効量のコルチコステロイドを前記対象に投与することを含む、本発明1016の方法。

[本発明1018]

前記対象が、任意選択的に8~14歳及び/又は15~17歳の若年対象である、本発明1001~1017のいずれかの方法。

[本発明1019]

前記対象が、任意選択的に0~8歳の小児対象である、本発明1001~1017のいずれかの方法。

[本発明1020]

前記対象が、任意選択的に18歳以上の成人対象である、本発明1001~1017のいずれかの方法。

[本発明1021]

前記治療有効量の前記AAVが静脈内投与される、本発明1001~1020のいずれかの方法。

[本発明1022]

前記治療有効量の前記AAVが直接心臓注射により投与される、本発明1001~1020のいずれかの方法。

[本発明1023]

前記治療有効量の前記AAVが腹腔内注射により投与される、本発明1001~1020のいずれかの方法。

[本発明1024]

a) 前記AAVによる心筋細胞及び/若しくは骨格筋の形質導入、

b) 任意選択的に心筋細胞及び/若しくは骨格筋における、LAMP-2Bをコードする外因性リボ核酸ポリヌクレオチドの発現及び/若しくは外因性LAMP-2Bタンパク質の発現、

c) 1つ以上のダノン病関連組織学的異常、任意選択的に自己貪食空胞若しくは筋原線維錯綜配列の補正若しくは改善、

d) 心筋細胞分子マーカー発現の補正若しくは改善、並びに/又は

10

20

30

40

50

e) 心筋細胞組織学の補正若しくは改善
のうちの1つ以上をもたらす、本発明1001～1023のいずれかの方法。

[本発明1025]

a) 心血管病態生理学、X線評価、及び/若しくは、心肺運動/生理学的パラメータの
持続的改善若しくは安定化、

b) LAMP2B遺伝子及び/若しくはタンパク質発現の補正、

c) ダノン病関連組織学的異常の改善、並びに/又は

d) AAVに対する耐容免疫応答

のうちの1つ以上をもたらす、本発明1001～1024のいずれかの方法。

[本発明1026]

a) 心血管病態生理学、X線評価、及び/若しくは、心肺運動/生理学的パラメータの
持続的改善若しくは安定化、

b) LAMP2B遺伝子及び/若しくはタンパク質発現の補正、

c) ダノン病関連組織学的異常の改善、並びに/又は

d) AAVに対する耐容免疫応答

のうちの1つ以上をもたらす、本発明1001～1025のいずれかの方法。

[本発明1027]

a) 治療下で発現した有害事象(TEAE)及びSAEの低い発生率及び/又は強度、

b) 心臓移植、植込み型除細動器若しくはペースメーカー留置、心臓伝導異常に対する
電気生理学的切除術、又は、心不全によるその後の入院を含む、心臓インターベンション
の低い発生率、

c) AAV、任意選択的にAAV及び/又はLAMP-2Bタンパク質に反応性の抗体
又はTリンパ球に対する低い免疫応答、

d) 肝毒性の低い発生率及び/又は強度、任意選択的に肝トランスアミナーゼ(AST
及びALT)、GGT、ビリルビン、及びALPの小さな変化、並びに/あるいは

e) 血小板数、プロトロンビン時間(PT、若しくは国際標準化比(INR))、活性
化部分トロンボプラスチン時間(aPTT)、フィブリノゲン、D-ダイマー、トロンビン-
アンチトロンビン複合体(TAT)、及び補体成分(補体3(C3)、補体4(C4)
)、及び血清膜侵襲複合体(sC5b-9)のベースラインからの変化に基づく、h凝固
障害の低い発生率及び/又は強度

のうちの1つ以上をもたらす、本発明1001～1026のいずれかの方法。

[本発明1028]

前記AAVが、プロモーターに作動可能に連結された前記LAMP-2Bタンパク質を
コードする前記ポリヌクレオチド配列を含む発現カセットを含み、かつ、

前記ポリヌクレオチド配列が配列番号2に対する少なくとも95%の同一性を共有する
、及び/又は前記LAMP-2Bタンパク質が配列番号1に対する少なくとも95%の同
一性を共有する、

本発明1001～1027のいずれかの方法。

[本発明1029]

前記ポリヌクレオチド配列が配列番号2を含む若しくはそれからなる、及び/又は前記
LAMP-2Bタンパク質が配列番号1を含む若しくはそれからなる、本発明1001～
1028のいずれかの方法。

[本発明1030]

前記プロモーターがCAGプロモーターである、本発明1001～1029のいずれか
の方法。

[本発明1031]

前記プロモーターが、配列番号22に対する少なくとも95%の同一性を共有するエン
ハンサー/プロモーター領域を含む、本発明1030の方法。

[本発明1032]

前記エンハンサー/プロモーター領域が配列番号22を含む又はそれからなる、本発明

10

20

30

40

50

1 0 3 0 の方法。

[本発明 1 0 3 3]

前記発現カセットが、5 から 3 の順に、

(a) 配列番号 2 2 を含むエンハンサー / プロモーター領域、

(b) 配列番号 3 を含み、前記 L A M P - 2 B タンパク質をコードする前記ポリヌクレオチド配列、

(c) 配列番号 2 7 を含む 3 U T R 配列、及び / 又は

(d) 配列番号 7 を含むポリアデニル化配列

を含む、本発明 1 0 2 8 の方法。

[本発明 1 0 3 4]

前記発現カセットが、(i) 配列番号 1 1 を含む 5 I T R と、(i i) 配列番号 1 2 を含む 3 I T R とに隣接している、本発明 1 0 2 8 の方法。

[本発明 1 0 3 5]

前記発現カセットが配列番号 8 を含む、本発明 1 0 2 8 の方法。

[本発明 1 0 3 6]

前記カプシドが A A V 9 カプシドである、本発明 1 0 2 8 の方法。

[本発明 1 0 3 7]

前記 A A V 9 カプシドが、配列番号 2 8 のアミノ酸 1 ~ 7 3 6、配列番号 2 8 のアミノ酸 1 3 8 ~ 7 3 6、又は配列番号 2 8 のアミノ酸 2 0 3 ~ 7 3 6 を含む 1 つ以上のカプシドタンパク質を含む、本発明 1 0 3 6 の方法。

[本発明 1 0 3 8]

治療有効量の、L A M P - 2 タンパク質、好ましくは L A M P - 2 B タンパク質をコードするポリヌクレオチド配列を含むアデノ随伴ウイルス (A A V) を含む、ダノン病の治療における使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 3 9]

前記治療有効量が、前記対象の体重 1 キログラム (k g) あたり約 $2 \times 1 0^{14}$ ベクターゲノム (v g) 未満である、本発明 1 0 3 8 の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 0]

前記治療有効量が、約 $1.5 \times 1 0^{14}$ v g / k g 未満である、本発明 1 0 3 8 の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 1]

前記治療有効量が、約 $1 \times 1 0^{14}$ v g / k g 未満である、本発明 1 0 3 8 の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 2]

前記治療有効量が、少なくとも約 $1 \times 1 0^{12}$ v g / k g である、本発明 1 0 3 8 ~ 1 0 4 1 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 3]

前記治療有効量が、少なくとも約 $1 \times 1 0^{13}$ v g / k g である、本発明 1 0 3 8 ~ 1 0 4 1 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 4]

前記治療有効量が、約 $6.7 \times 1 0^{13}$ v g / k g である、本発明 1 0 3 8 ~ 1 0 4 1 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 5]

前記治療有効量が、約 $1.1 \times 1 0^{14}$ v g / k g である、本発明 1 0 3 8 ~ 1 0 4 1 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 6]

前記治療有効量が、約 $2.0 \times 1 0^{14}$ v g / k g である、本発明 1 0 3 8 ~ 1 0 4 1 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1 0 4 7]

10

20

30

40

50

前記 A A V が、プロモーターに作動可能に連結された前記 L A M P - 2 B タンパク質をコードする前記ポリヌクレオチド配列を含む発現カセットを含み、かつ、

前記ポリヌクレオチド配列が配列番号 2 に対する少なくとも 95% の同一性を共有する、及び / 又は前記 L A M P - 2 B タンパク質が配列番号 1 に対する少なくとも 95% の同一性を共有する、

本発明 1038 ~ 1046 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1048]

前記ポリヌクレオチド配列が配列番号 2 を含む若しくはそれからなる、及び / 又は前記 L A M P - 2 B タンパク質が配列番号 1 を含む若しくはそれからなる、本発明 1038 ~ 1047 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

10

[本発明 1049]

前記プロモーターが C A G プロモーターである、本発明 1038 ~ 1048 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1050]

前記プロモーターが、配列番号 22 に対する少なくとも 95% の同一性を共有するエンハンサー / プロモーター領域を含む、本発明 1038 ~ 1049 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1051]

前記エンハンサー / プロモーター領域が配列番号 22 を含む又はそれからなる、本発明 1038 ~ 1050 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

20

[本発明 1052]

前記発現カセットが、5 から 3 の順に、

(a) 配列番号 22 を含むエンハンサー / プロモーター領域、

(b) 配列番号 3 を含み、前記 L A M P - 2 B タンパク質をコードする前記ポリヌクレオチド配列、

(c) 配列番号 27 を含む 3 U T R 配列、及び / 又は

(d) 配列番号 7 を含むポリアデニル化配列

を含む、本発明 1038 ~ 1051 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

30

[本発明 1053]

前記発現カセットが、(i) 配列番号 11 を含む 5 I T R と、(i i) 配列番号 12 を含む 3 I T R とに隣接している、本発明 1038 ~ 1052 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1054]

前記発現カセットが配列番号 8 を含む、本発明 1038 ~ 1053 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1055]

前記カプシドが A A V 9 カプシドである、本発明 1038 ~ 1054 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

40

[本発明 1056]

前記 A A V 9 カプシドが、配列番号 28 のアミノ酸 1 ~ 736、配列番号 28 のアミノ酸 138 ~ 736、又は配列番号 28 のアミノ酸 203 ~ 736 を含む 1 つ以上のカプシドタンパク質を含む、本発明 1055 の使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物。

[本発明 1057]

本発明 1038 ~ 1055 のいずれかの使用のための単位用量、医薬組成物、又は組成物と、ダノン病の治療における使用のための説明書と、を含む、キット。

[本発明 1058]

前記キットが、リツキシマブ、タクロリムス、エクリズマブ、及びコルチコステロイド

50

のうちの1つ以上を含む1つ以上の単位用量、医薬組成物、又は組成物を更に含む、本発明1057のキット。

本発明の更なる態様及び実施形態は、以下の発明を実施するための形態に開示されている。

10

20

30

40

50