

【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21年7月9日(2009.7.9)

【公表番号】特表2008-540445(P2008-540445A)

【公表日】平成20年11月20日(2008.11.20)

【年通号数】公開・登録公報2008-046

【出願番号】特願2008-510224(P2008-510224)

【国際特許分類】

A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	35/76	(2006.01)
A 6 1 P	3/00	(2006.01)
A 6 1 P	3/06	(2006.01)
A 6 1 K	38/46	(2006.01)
A 6 1 P	25/28	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/711	(2006.01)
C 1 2 N	15/09	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	45/00	
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	35/76	
A 6 1 P	3/00	
A 6 1 P	3/06	
A 6 1 K	37/54	
A 6 1 P	25/28	
A 6 1 P	43/00	
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 K	31/711	
C 1 2 N	15/09	

A

【手続補正書】

【提出日】平成21年5月1日(2009.5.1)

【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】

生物学的に活性な分子をコードするAAVベクターを含む、代謝性疾患を治療するための医薬組成物であって、注入されるAAVベクターが中枢神経系の遠位部位に局在する細胞を透過し、コードされた生物学的に活性な分子が翻訳される条件下において、哺乳類の疾患にかかっている中枢神経系の部位に投与される、組成物。

【請求項2】

次いで、翻訳された生物学的に活性な分子が発現される、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

哺乳類がリソソーム蓄積症または異常なコレステロール代謝である、請求項1に記載の

組成物。

【請求項 4】

リソソーム蓄積症がニーマン・ピック病 A 型である、請求項 3 に記載の組成物。

【請求項 5】

哺乳類がヒトである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 6】

遠位部位が投与部位に対して対側である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 7】

投与部位が脊髄、脳幹、海馬、線条体、延髄、脳橋、中脳、小脳、視床、視床下部、大脳皮質、後頭葉、側頭葉、頭頂葉、および前頭葉からなる群から選択される C N S 領域である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 8】

投与部位が海馬内であり、遠位部位が対側の歯状回、対側の C A 3 、内側隔壁、および嗅内皮質からなる群から選択される脳の領域内である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 9】

投与部位が線条体および小脳からなる群から選択される脳の領域内であり、遠位部位が黒質および延髄からなる群から選択される脳の領域内である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 10】

投与部位が小脳の深部小脳核内である、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 11】

A A V ベクターが A A V 血清型 1 キャプシドを有する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 12】

A A V ベクターが A A V 血清型 1 キャプシドを有する、請求項 3 または 4 に記載の組成物。

【請求項 13】

A A V ベクターが A A V 血清型 1 キャプシドを有する、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 14】

A A V ベクターが A A V 1 または A A V 2 / 1 である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 15】

A A V ベクターが A A V 1 または A A V 2 / 1 である、請求項 3 または 4 に記載の組成物。

【請求項 16】

A A V ベクター A A V 1 または A A V 2 / 1 である、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 17】

哺乳類の C N S 内の第 2 部位への投与をさらに含む組成物であって、組成物が生物学的に活性な分子の産物をコードするポリヌクレオチドを含む A A V ベクターを含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 18】

第 2 の投与部位が第 1 の投与部位の対側である、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 19】

生物学的に活性な分子がリソソーム加水分解酵素である、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 20】

リソソーム加水分解酵素が表 1 に記載されるリソソーム加水分解酵素のうちのいずれか 1 つである、請求項 19 に記載の組成物。

【請求項 21】

リソソーム加水分解酵素が酸スフィンゴミエリナーゼである、請求項 20 に記載の組成物。

【請求項 22】

投与部位が深部小脳核内であり、遠位部位が脊髄である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 23】

投与部位および遠位部位の間の距離が少なくとも 2 mm である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 24】

組成物中の AAV ベクター濃度が少なくとも  $5 \times 10^{12}$  g p / ml である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 25】

金属エンドペプチダーゼ分子をコードする AAV ベクターを含む、アルツハイマー病を治療するための医薬組成物であって、注入される AAV ベクターが中枢神経系の遠位部位に局在する細胞を透過し、コードされた金属エンドペプチダーゼが発現される条件下において、アルツハイマー病にかかっている哺乳類の中枢神経系の部位に投与される、組成物。

【請求項 26】

金属エンドペプチダーゼがネブリライシン、インスリジン、およびチメット (thiomethionine) オリゴペプチダーゼからなる群から選択される、請求項 25 に記載の組成物。

【請求項 27】

AAV ベクターが AAV2、AAV3、AAV4、AAV5、AAV6、AAV7、および AAV8 からなる群から選択される、請求項 1 または 25 に記載の組成物。

【請求項 28】

投与部位と遠位部位の間の距離が少なくとも 2 mm である、請求項 25 に記載の組成物。

【請求項 29】

組成物中の AAV ベクター濃度が少なくとも  $5 \times 10^{12}$  g p / ml である、請求項 25 に記載の組成物。

【請求項 30】

AAV ベクターが AAV2、AAV3、AAV4、AAV5、AAV6、AAV7、および AAV8 からなる群から選択される、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 31】

AAV が組み換え AAV ベクターである、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 32】

組み換え AAV ベクターが AAV2/1、AAV2/2、AAV2/5、AAV2/7 および AAV2/8 血清型ベクターからなる群から選択される、請求項 29 に記載の組成物。