

【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 15/00 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 A A V 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 A A V 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 CNS 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 CA 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】

AAV ベクターが AAV 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】

AAV ベクターが AAV 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】

AAV ベクターが AAV 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】

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

【請求項 15】

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

【請求項 16】

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

【請求項 17】

哺乳類の CNS 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 AAV 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 $5 \times 10^{12}$  gp/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プリライシン、インスリジン、およびチメット (thimet) 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 $5 \times 10^{12}$  gp/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。