

【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6月25日(2009.6.25)

【公表番号】特表2008-540435(P2008-540435A)

【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2008-510154(P2008-510154)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2006.01)

A 6 1 P 25/02 (2006.01)

A 6 1 P 21/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 0 7 K 14/65 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 48/00 Z N A

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 25/02

A 6 1 P 21/00

C 1 2 N 15/00 A

C 0 7 K 14/65

【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】

トランスジーンを含む組換え神経向性ウイルスベクターを含む医薬組成物であって、脊髄および/または脳幹へのトランスジーン産物の送達を助ける条件下で、脳の深部小脳核領域の少なくとも1つの領域へ投与される、組成物。

【請求項2】

トランスジーンを含む組換え神経向性ウイルスベクターを含む医薬組成物であって、脊髄へのトランスジーン産物の送達を助ける条件下で、脳の運動皮質領域へ投与される、組成物。

【請求項3】

トランスジーンを含む組換え神経向性ウイルスベクターを含む、対象の運動ニューロンへトランスジーンを送達させるための医薬組成物であって、脳の深部小脳核領域の少なくとも1つの領域へ投与され、該トランスジーンが該投与部位に対して遠位の運動ニューロンで発現されるか、または該運動ニューロンへ送達されるものである、組成物。

【請求項4】

トランスジーンを含む神経向性ウイルスベクターを含む、対象の運動ニューロンへトランスジーンを送達させるための医薬組成物であって、脳の運動皮質領域へ投与され、該トランスジーンが該投与部位に対して遠位の運動ニューロンで発現されるか、または該運動ニューロンへ送達されるものである、組成物。

【請求項5】

治療用トランスジーンを含む組換え神経向性ウイルスベクターを含む、対象における運動ニューロン障害の処置のための医薬組成物であって、脳の深部小脳核領域の少なくとも1つの領域へ投与され、トランスジーン産物が脊髄の少なくとも1つの小区分および/または脳幹の少なくとも1つの区分へ治療上有効量で送達されるものである、組成物。

【請求項6】

治療用トランスジーンを含む組換え神経向性ウイルスベクターを含む、対象における運動ニューロン障害の徴候の改善のための医薬組成物であって、脳の運動皮質領域へ投与され、ここで、トランスジーン産物が脊髄の少なくとも1つの小区分へ治療上有効量で送達されるものである、組成物。

【請求項7】

神経向性ウイルスベクターがアデノ随伴ウイルスベクター(AAV)である、請求項1~6いずれか1項に記載の組成物。

【請求項8】

神経向性ウイルスベクターが、AAV1、AAV2、AAV3、AAV4、AAV5、AAV6、AAV7およびAAV8からなる群より選択されるアデノ随伴ウイルスベクターである、請求項1~6いずれか1項に記載の組成物。

【請求項9】

脳の深部小脳核領域の領域が、内側領域、中間領域および外側領域からなる群より選択される、請求項1、3または5いずれか1項に記載の組成物。

【請求項10】

送達が両側性である、請求項1~6いずれか1項に記載の組成物。

【請求項11】

脊髄小区分が頸部小区分、胸部小区分、腰部小区分および尾部小区分からなる群より選択される、請求項5または6に記載の組成物。

【請求項12】

トランスジーンが脊髄の全小区分へ送達される、請求項5または6に記載の組成物。

【請求項13】

複数回投与の少なくとも1回が両側性である、請求項12に記載の組成物。

【請求項14】

トランスジーンが、インスリン成長因子-1(IGF-1)、カルピンジンD28、パルプアルブミン、HIF1-アルファ、SIRT-2、VEGF、SMN-1、SMN-2およびCNTF(繊毛様神経栄養因子)からなる群より選択される、請求項1~6いずれか1項に記載の組成物。

【請求項15】

トランスジーンが発現が、筋萎縮性側索硬化症(ALS)、原発性側索硬化症(PLS)、球脊髄性筋萎縮症、脊髄小脳失調症、脊髄性筋萎縮症および外傷性脊髄損傷からなる群より選択される運動ニューロン障害の徴候を改善する、請求項6に記載の組成物。

【請求項16】

対象がヒト患者である、請求項1~6いずれか1項に記載の組成物。

【請求項17】

トランスジーンが、インスリン成長因子-1(IGF-1)、EPO(エリスロポエチン)、CBP(cAMP応答要素結合蛋白質[CREB]結合蛋白質)、カルピンジンD28、パルプアルブミン、HIF1-アルファ、SIRT-2、VEGF、SMN-1、SMN-2およびCNTF(繊毛様神経栄養因子)からなる群より選択される蛋白質を治療用量で発現する、請求項1~6いずれか1項に記載の組成物。