

【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26年5月8日(2014.5.8)

【公表番号】特表2013-530127(P2013-530127A)
 【公表日】平成25年7月25日(2013.7.25)
 【年通号数】公開・登録公報2013-040
 【出願番号】特願2013-502765(P2013-502765)
 【国際特許分類】

A 6 1 K 31/713 (2006.01)
 A 6 1 P 27/02 (2006.01)
 A 6 1 P 43/00 (2006.01)
 A 6 1 K 47/48 (2006.01)
 A 6 1 K 47/28 (2006.01)
 C 1 2 N 15/113 (2010.01)

【F I】

A 6 1 K 31/713 Z N A
 A 6 1 P 27/02
 A 6 1 P 43/00 1 0 5
 A 6 1 K 47/48
 A 6 1 K 47/28
 C 1 2 N 15/00 G

【手続補正書】
 【提出日】平成26年3月17日(2014.3.17)

【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】

d s R N A を含む、対象の網膜色素上皮における T T R の発現を低下させるための医薬組成物であって、前記 d s R N A が A D - 1 8 3 2 4 または A D - 1 8 5 3 4 または A D - 2 3 0 4 3 である、前記対象の網膜に投与するための医薬組成物。

【請求項 2】

前記 d s R N A は、コレステロール分子にコンジュゲートされる、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

前記対象は、ヒトである、請求項 1 または 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

前記対象は、T T R 関連眼アミロイドーシスの治療を必要とするヒトである、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

前記対象は、V 3 0 M T T R 遺伝子を含むヒトである、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

前記 d s R N A は、A D - 1 8 3 2 4 である、請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項記載の医薬組成物。

【請求項 7】

T T R の発現が、網膜色素上皮 (R P E) において低下される、請求項 1 ~ 6 のいずれか 1 項記載の医薬組成物。

【請求項 8】

T T R m R N A の発現が、対照と比較して、少なくとも 4 0 % または少なくとも 6 0 % 低下される、請求項 1 ~ 7 のいずれか 1 項記載の医薬組成物。

【請求項 9】

投与が、I L - 6 または T N F - レベルによって測定された場合、炎症反応をもたらさない、請求項 1 ~ 8 のいずれか 1 項記載の医薬組成物。

【請求項 10】

前記対象は、ダークアグーチ (D a r k A g o u t i) (D A) ラットである、請求項 1 に記載の 医薬組成物。

【請求項 11】

前記 d s R N A は、A D - 1 8 5 3 4 である、請求項 10 に記載の 医薬組成物。

【請求項 12】

T T R の発現が、網膜色素上皮 (R P E) において低下される、請求項 10 または 11 に記載の医薬組成物。

【請求項 13】

T T R m R N A の発現が、対照と比較して、少なくとも 6 0 % 低下される、請求項 10 ~ 12 のいずれか 1 項記載の医薬組成物。

【請求項 14】

投与が、I L - 6 または T N F - レベルによって測定された場合、炎症反応をもたらさない、請求項 10 ~ 13 のいずれか 1 項記載の医薬組成物。

【請求項 15】

前記対象は、ヒト A T T R の V 3 0 M 遺伝子を有するトランスジェニックラットである、請求項 1 に記載の 医薬組成物。

【請求項 16】

前記 d s R N A は、A D - 1 8 3 2 4 である、請求項 15 に記載の 医薬組成物。

【請求項 17】

T T R の発現が、網膜色素上皮 (R P E) において低下される、請求項 15 または 16 に記載の医薬組成物。

【請求項 18】

T T R m R N A の発現が、対照と比較して、少なくとも 6 0 % 低下される、請求項 15 ~ 17 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 19】

投与が、I L - 6 または T N F - レベルによって測定された場合、炎症反応をもたらさない、請求項 15 ~ 18 のいずれか 1 項記載の医薬組成物。

【請求項 20】

T T R 関連眼アミロイドーシスの治療、予防、または管理が必要な患者の網膜に投与するための、A D - 1 8 3 2 4 を含む、T T R 関連眼アミロイドーシスを治療、予防、または管理するための医薬組成物。

【請求項 21】

d s R N A を含む、網膜上皮細胞における T T R の発現を阻害するための医薬組成物 であって、前記 d s R N A が A D - 1 8 3 2 4 または A D - 1 8 5 3 4 であり、ここに、
(a) 前記医薬組成物が前記網膜上皮細胞に導入され、および
(b) ステップ (a) で産生された細胞が、T T R 遺伝子の m R N A 転写物の分解を得るために十分な時間維持され、それによって、前記細胞内の前記 T T R 遺伝子の発現が阻害されるところの、医薬組成物。

【請求項 22】

前記 d s R N A は、A D - 1 8 3 2 4 である、請求項 21 に記載の医薬組成物。

【請求項 23】

前記網膜上皮細胞は、ヒト網膜色素上皮トランスジェニック細胞である、請求項 2 1 または 2 2 に記載の 医薬組成物。

【請求項 2 4】

T T R の発現が、少なくとも 1 0 %、4 0 %、または少なくとも 6 0 % 阻害される、請求項 2 1 ~ 2 3 のいずれか 1 項記載の 医薬組成物。

【請求項 2 5】

前記 d s R N A の導入が、I L - 6 または T N F - レベルによって測定された場合、炎症反応をもたらさない、請求項 2 1 ~ 2 4 のいずれか 1 項記載の 医薬組成物。