

【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4年5月13日(2022.5.13)

【国際公開番号】WO2020/016318

【公表番号】特表2021-529821(P2021-529821A)

【公表日】令和3年11月4日(2021.11.4)

【出願番号】特願2021-502435(P2021-502435)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

10

C 1 2 N 9/52(2006.01)

C 1 2 N 15/57(2006.01)

C 1 2 N 15/31(2006.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 38/48(2006.01)

A 6 1 K 38/47(2006.01)

A 6 1 P 7/04(2006.01)

20

A 6 1 P 7/06(2006.01)

C 1 2 N 9/24(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

C 1 2 N 15/861(2006.01)

C 1 2 N 15/867(2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088

C 1 2 N 9/52

C 1 2 N 15/57

C 1 2 N 15/31

30

C 1 2 N 15/63 Z

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 38/48

A 6 1 K 38/47

A 6 1 P 7/04

A 6 1 P 7/06

C 1 2 N 9/24 Z N A

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

40

C 1 2 N 15/861 Z

C 1 2 N 15/867 Z

【手続補正書】

【提出日】令和4年4月25日(2022.4.25)

【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】

50

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

組換えアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターの投与により引き起こされる体液性免疫応答の予防又は処置に使用するための免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチドであって、体液性免疫応答が、組換えAAVベクター及び/又は異種ポリヌクレオチド、又は組換えAAVベクターによりキャプシド形成された異種ポリヌクレオチドによりコードされるタンパク質又はペプチドに対する、免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチド。

【請求項 2】

組換えAAVベクターが、遺伝子治療ベクターである、請求項1に記載の使用のための免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチド。

10

【請求項 3】

それを必要とする患者において組換え遺伝子治療AAVベクターによって治療される疾患の処置のための組換え遺伝子治療アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターとの組合せにおける使用のための、免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチド。

【請求項 4】

前記組換えAAVベクターが、AAV1、AAV2、AAV2変異体、AAV3、AAV3変異体、AAV3B、AAV3B変異体、AAV4、AAV5、AAV6、AAV6変異体、AAV7、AAV8、AAV9、AAV10、AAVcy10、AAVrh10、AAVrh74、AAVdj、AAV-Anc80、配列番号1、配列番号2またはAAV2i8からなる群から選択されるキャプシドタンパク質を含むAAVベクターである、請求項1～3のいずれか一項に記載の使用のための免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチド。

20

【請求項 5】

免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチドが、配列番号3～18、23、または48のいずれか1つの配列を含む、請求項1～4のいずれか一項に記載の使用のための免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチド。

【請求項 6】

前記免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチドが、配列番号49～51のいずれか1つの非天然シグナル配列をさらに含む、請求項5に記載の使用のための免疫グロブリンG分解酵素ポリペプチド。

30

【請求項 7】

組換え遺伝子治療AAVベクターによって治療される疾患が、増殖性疾患(癌、腫瘍、異形成など)、クリグラー・ナジャー爾およびクリグラー・ナジャー爾肝臓の代謝性疾患、フリードライヒ運動失調、感染症、(例えば、タバコ、アルコール、または薬物の)中毒、てんかん、カナバン病、副腎白質ジストロフィー、(例えば、B型またはC型肝炎ウイルス、HIV、ヘルペス、レトロウイルスなどによって誘発される)ウイルス性疾患、遺伝性疾患(嚢胞性線維症、ジストログリカノパチー、デュシェンヌ筋ミオパチーまたはジストロフィーなどのミオパチー、筋管ミオパチー、血友病A、血友病B、インヒビターを伴う血友病A、インヒビターを伴う血友病B、鎌状細胞貧血、鎌状細胞疾患、ファンconi貧血、糖尿病、筋萎縮症側方硬化症(ALS)、ミオチューブラリンミオパチー、脊髄筋萎縮症(SMA)などの運動ニューロン疾患、脊髄延髄筋萎縮症、またはシャルコット-マリー-歯病、関節炎、重度の組み合わせ免疫不全症(RS-SCID、ADA-SCID、X-SCIDなど)、ウイスコット・アルドリッチ症候群、X連鎖性血小板減少症、X連鎖性先天性好中球減少症、慢性肉芽腫症など)、凝固因子欠損症、心血管疾患(網膜色素変性症、虚血、脂質異常症、ホモ接合性家族性高コレステロール血症など)、網膜色素変性症、リーバー先天性黒内障、リーバー遺伝性視神経症、スターガルト病などの眼疾患；遺伝性血管浮腫(HAE)、サンフィリップ症候群などのリソソーム蓄積症；CNTA1またはIIなどの高ビリルビン血症またはジルベール症候群；ファブリー病、GSDI、GSDII(ポンペ病)、GSDIII、GSDIV、GSDV、GSDVI、GSDVII、GSDVIIIなどのグリコーゲン蓄積症および心臓の致命的な先天性グリ

40

50

コーゲン蓄積症からなる群から選択される、請求項 2 ~ 5 のいずれか一項に記載の使用のための免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチド。

【請求項 8】

前記組換え遺伝子治療 AAV ベクターが、請求項 7 に記載の疾患を治療するのに適切な治療用ポリヌクレオチドを含む、請求項 2 ~ 6 のいずれか一項に記載の使用のための免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチド。

【請求項 9】

組換え遺伝子治療 AAV ベクター及び免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチドが、同時、別個又は連続して投与される、請求項 3 ~ 8 のいずれか一項に記載の使用のための免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチド。

10

【請求項 10】

免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチドが、組換え遺伝子治療 AAV ベクターの前に、又は組換え遺伝子治療 AAV ベクターと共に投与される、請求項 3 ~ 9 のいずれか一項に記載の使用のための免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチド。

【請求項 11】

それを必要とする患者において組換え遺伝子治療 AAV ベクターによって治療される疾患の治療のための組換え遺伝子治療アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターと組み合わせて使用するための免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチドをコードする、核酸配列。

【請求項 12】

それを必要とする患者において組換え遺伝子治療 AAV ベクターによって治療される疾患の治療のための組換え遺伝子治療アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターと組み合わせて使用するための免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチドをコードする核酸配列を含む、発現ベクター。

20

【請求項 13】

(a) 異種タンパク質をコードする異種ポリヌクレオチド、ペプチド又はポリヌクレオチドを含む組換え遺伝子治療アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクター、(b) 免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチド、及び (c) 遺伝子治療を実行するための指示が記載されたラベルを含み、(a) 及び (b) が、別個の容器又は同じ容器に入っている、パッケージ又はキット。

【請求項 14】

遺伝子治療による疾患の処置に使用するための、請求項 13 に記載のパッケージ又はキット。

30

【請求項 15】

免疫グロブリン G 分解酵素ポリペプチドが、配列番号 3 ~ 18、23 または 48 のいずれかの配列を含む、請求項 11 に記載の使用のための核酸配列、請求項 12 に記載の使用のための発現ベクター、請求項 13 に記載のパッケージ又はキット、又は請求項 14 に記載の使用のためのパッケージ又はキット。

40

50