

【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30年10月18日 (2018.10.18)

【公表番号】特表2017-536363(P2017-536363A)

【公表日】平成29年12月7日 (2017.12.7)

【年通号数】公開・登録公報2017-047

【出願番号】特願2017-526853(P2017-526853)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/40 (2006.01)

A 6 1 K 31/366 (2006.01)

A 6 1 K 31/404 (2006.01)

A 6 1 K 31/47 (2006.01)

A 6 1 K 31/505 (2006.01)

A 6 1 K 31/22 (2006.01)

A 6 1 K 31/616 (2006.01)

A 6 1 K 31/192 (2006.01)

A 6 1 K 31/216 (2006.01)

A 6 1 K 31/07 (2006.01)

A 6 1 K 45/06 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/06 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/14 (2006.01)

A 6 1 P 25/28 (2006.01)

A 6 1 P 21/02 (2006.01)

A 6 1 P 25/16 (2006.01)

A 6 1 P 13/02 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 31/40

A 6 1 K 31/366

A 6 1 K 31/404

A 6 1 K 31/47

A 6 1 K 31/505

A 6 1 K 31/22

A 6 1 K 31/616

A 6 1 K 31/192

A 6 1 K 31/216

A 6 1 K 31/07

A 6 1 K 45/06

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 3/06

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 25/14

A 6 1 P 25/28

A 6 1 P 21/02

A 6 1 P 25/16
A 6 1 P 13/02
A 6 1 P 43/00 1 2 1
C 1 2 N 15/00 Z N A A

【手続補正書】

【提出日】平成30年9月10日(2018.9.10)

【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】

リソソーム蓄積症の治療のための組成物であって、転写因子EBのアップレギュレーションを仲介する薬剤を含有する組成物の治療的有効量を含有する、上記組成物。

【請求項 2】

薬剤がスタチンである、請求項 1 記載の組成物。

【請求項 3】

スタチンがアトロバスタチン、フルバスタチン、ロバスタチン、ピタバスタチン、プラバスタチン、ロスバスタチン、シムバスタチン、及びこれらの組合せからなる群より選択される、請求項 2 記載の組成物。

【請求項 4】

薬剤が、鎮痛剤、解熱剤、アスピリン、桂皮(cinnamon)代謝産物、桂皮酸、フェニル酪酸ナトリウム及び安息香酸ナトリウムからなる群より選択される、請求項 1 記載の組成物。

【請求項 5】

薬剤が脂質低下剤である、請求項 1 記載の組成物。

【請求項 6】

脂質低下剤がフィブラートである、請求項 5 記載の組成物。

【請求項 7】

フィブラートがゲムフィプロジル又はフェノフィブラートである、請求項 6 記載の組成物。

【請求項 8】

組成物が更に治療的有効量のオールトランス型レチノイン酸又はビタミン A を含有する、請求項 1 ～ 7 のいずれか 1 項記載の組成物。

【請求項 9】

組成物がフィブラート及びオールトランス型レチノイン酸又はビタミン A を含有する、請求項 8 記載の組成物。

【請求項 10】

転写因子EBが、転写因子EB mRNAレベルの上昇、転写因子EBタンパク質レベルの上昇、又はPPARα-RXRαヘテロ二量体の活性化によってアップレギュレートされる、請求項 1 ～ 9 のいずれか 1 項記載の組成物。

【請求項 11】

治療的有効量の薬剤を含有するリソソーム蓄積症の治療のための組成物であって、薬剤が転写因子EB活性を回復させるものである、上記組成物。

【請求項 12】

薬剤がフィブラートである、請求項 11 記載の組成物。

【請求項 13】

フィブラートがゲムフィプロジル又はフェノフィブラートである、請求項 12 記載の組

成物。

【請求項 1 4】

遺伝子のアップレギュレートを仲介する薬剤の治療的有效量を含有する、リソソーム蓄積症の治療のための組成物であって、遺伝子がTfeb遺伝子である、上記組成物。

【請求項 1 5】

スタチン及びオールトランス型レチノイン酸又はビタミン A を含有する医薬の組合せ。

【請求項 1 6】

製薬上許容される担体を更に含有する、請求項 1 5 記載の医薬の組合せ。

【請求項 1 7】

リソソーム蓄積症が、神経セロイドリポフスチン症、アルツハイマー病、ハンチントン病、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、多系統萎縮症（MSA）等のパーキンソン様疾患を含むパーキンソン病、進行性核上性麻痺（PSP）、大脳皮質基底核変性症（CBD）及びレビー小体型認知症（DLB）からなる群より選択される神経変性疾患である、請求項 1 ～ 1 4 のいずれか 1 項記載の組成物又は請求項 1 5 若しくは 1 6 記載の医薬の組合せ。

【請求項 1 8】

リソソーム蓄積症がオートファジー経路の障害であり、薬剤がリソソームの生合成を増大させる、請求項 1 ～ 1 4 のいずれか 1 項記載の組成物又は請求項 1 5 若しくは 1 6 記載の医薬の組合せ。

【請求項 1 9】

リソソーム蓄積症が、テイ・サックス病、ファブリー病、ニーマン・ピック病、ゴーシェ病、ハンター症候群、マンノース症、アスバルチルグルコサミン尿症、コレステロールエステル蓄積症、慢性ヘキサミニダーゼ A 欠損症、シスチン症、ダノン病、ファーマー病、フコシドーシス、ガラクトシアリドーシス、及びパッテン病からなる群より選択される、請求項 1 ～ 1 4 のいずれか 1 項記載の組成物又は請求項 1 5 若しくは 1 6 記載の医薬の組合せ。

【請求項 2 0】

医薬の組合せが相乗的な医薬の組合せである、請求項 1 5 記載の医薬の組合せ。

【請求項 2 1】

薬剤がアスピリンである、請求項 4 記載の組成物。