

【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29年4月13日(2017.4.13)

【公表番号】特表2016-519063(P2016-519063A)

【公表日】平成28年6月30日(2016.6.30)

【年通号数】公開・登録公報2016-039

【出願番号】特願2016-502078(P2016-502078)

【国際特許分類】

A 6 1 K	47/42	(2017.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	9/127	(2006.01)
A 6 1 K	9/50	(2006.01)
A 6 1 K	35/76	(2015.01)
A 6 1 P	27/02	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	38/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/712	(2006.01)
A 6 1 K	45/00	(2006.01)
C 1 2 N	15/113	(2010.01)
C 0 7 K	16/00	(2006.01)
C 0 7 K	19/00	(2006.01)
C 0 7 K	14/00	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	47/42	Z N A
A 6 1 K	31/7088	
A 6 1 K	39/395	D
A 6 1 K	39/395	N
A 6 1 K	9/127	
A 6 1 K	9/50	
A 6 1 K	35/76	
A 6 1 P	27/02	
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	37/02	
A 6 1 K	31/712	
A 6 1 K	45/00	
C 1 2 N	15/00	G
C 0 7 K	16/00	
C 0 7 K	19/00	
C 0 7 K	14/00	

【手続補正書】

【提出日】平成29年3月10日(2017.3.10)

【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】**

プラスミンまたはその誘導体を含む、治療剤の対象の眼への送達を増強するための薬学的組成物であって、該治療剤と組み合わせて使用される、薬学的組成物。

**【請求項 2】**

プラスミンまたはその誘導体が、ミニプラスミンまたはマイクロプラスミン（オクリップラスミン）である、請求項1記載の薬学的組成物。

**【請求項 3】**

治療剤が、核酸、低分子、抗体、またはペプチドから選択される、請求項1記載の薬学的組成物。

**【請求項 4】**

核酸が、核酸発現ベクター、プラスミド、またはsiRNAである、請求項3記載の薬学的組成物。

**【請求項 5】**

核酸が、核酸発現ベクターである、請求項3記載の薬学的組成物。

**【請求項 6】**

核酸発現ベクターが、導入遺伝子を含むウイルスベクターである、請求項5記載の薬学的組成物。

**【請求項 7】**

導入遺伝子がオプシンである、請求項6記載の薬学的組成物。

**【請求項 8】**

オプシンが、チャネルロドプシン、ハロロドプシン、メラノロドプシン、松果体オプシン、バクテリオロドプシン、およびプロテオロドプシン、またはその機能的バリエントからなる群より選択される、請求項7記載の薬学的組成物。

**【請求項 9】**

前記導入遺伝子が、細胞特異的プロモーターに機能的に連結されている、請求項6～8のいずれか一項記載の薬学的組成物。

**【請求項 10】**

治療剤が、ナノ粒子、ポリマー、またはリポソームの中にカプセル化されている、請求項1～9のいずれか一項記載の薬学的組成物。

**【請求項 11】**

治療剤が、ラニビズマブ抗体FAB（Lucentis）、VEGF Trap融合分子（VEGF Trap-Eye）、macugenペグ化ポリペプチド（ペガブタニブ）、およびベバシズマブ（Avastin）からなる群より選択される、請求項1～10のいずれか一項記載の薬学的組成物。

**【請求項 12】**

対象が眼の疾患または障害を患っている、請求項1記載の薬学的組成物。

**【請求項 13】**

治療剤との同時または逐次送達に適している、請求項1記載の薬学的組成物。

**【請求項 14】**

治療剤が網膜細胞への送達に適している、請求項1記載の薬学的組成物。

**【請求項 15】**

網膜細胞が、網膜神経節細胞、網膜双極細胞、網膜水平細胞、無軸索細胞、光受容細胞、ミュラーグリア細胞、または網膜色素上皮細胞である、請求項14記載の薬学的組成物。

**【請求項 16】**

眼の硝子体への送達に適している、請求項1記載の薬学的組成物。

**【請求項 17】**

プラスミンまたはその誘導体を含む、対象において光感受性を増大させるか、または視力を改善もしくは回復させるための薬学的組成物であって、眼の硝子体への送達に適しており、オプシンをコードする核酸発現ベクターと組み合わせて使用される、薬学的組成物。

**【請求項 18】**

前記オプシンが、チャネルロドプシン、ハロロドプシン、メラノプシン、松果体オプシン、バクテリオロドプシン、およびプロテオロドプシン、またはその機能的バリアントからなる群より選択される、請求項17記載の薬学的組成物。

【請求項19】

対象が眼の疾患または障害を有する、請求項17または18記載の薬学的組成物。

【請求項20】

前記オプシンが、細胞特異的プロモーターに機能的に連結されている、請求項17記載の薬学的組成物。

【請求項21】

核酸発現ベクターとの同時または逐次送達に適している、請求項17記載の薬学的組成物。

【請求項22】

核酸発現ベクターが網膜細胞への送達に適している、請求項17記載の薬学的組成物。

【請求項23】

網膜細胞が、網膜神経節細胞、網膜双極細胞、網膜水平細胞、無軸索細胞、光受容細胞、ミュラーグリア細胞、または網膜色素上皮細胞である、請求項22記載の薬学的組成物。

【請求項24】

前記核酸発現ベクターが、ウイルスベクターである、請求項17記載の薬学的組成物。

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0018

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0018】

[本発明1001]

治療剤の対象の眼への送達を増強する方法であって、プラスミンまたはその誘導体および該治療剤を該眼に投与する段階を含む、方法。

[本発明1002]

プラスミンまたはその誘導体が、ミニプラスミンまたはマイクロプラスミン（オクリップラスミン）である、本発明1001の方法。

[本発明1003]

治療剤が、核酸、低分子、抗体、またはペプチドから選択される、本発明1001の方法。

[本発明1004]

核酸が、核酸発現ベクター、プラスミド、またはsiRNAである、本発明1003の方法。

[本発明1005]

核酸発現ベクターが、導入遺伝子を含むウイルスベクターである、本発明1004の方法。

[本発明1006]

導入遺伝子がオプシンである、本発明1005の方法。

[本発明1007]

オプシンが、チャネルロドプシン、ハロロドプシン、メラノプシン、松果体オプシン、バクテリオロドプシン、およびプロテオロドプシン、またはその機能的バリアントからなる群より選択される、本発明1006の方法。

[本発明1008]

前記導入遺伝子が、細胞特異的プロモーターに機能的に連結されている、本発明1004～1007のいずれかの方法。

[本発明1009]

治療剤が、ナノ粒子、ポリマー、またはリポソームの中にカプセル化されている、前記本発明のいずれかの方法。

[本発明1010]

治療剤が、ラニビズマブ抗体FAB (Lucentis)、VEGF Trap融合分子 (VEGF Trap-Eye)

、macugenペグ化ポリペプチド（ペガプタニブ）、およびベバシズマブ（Avastin）からなる群より選択される、前記本発明のいずれかの方法。

[本発明1011]

対象が眼の疾患または障害を患っている、本発明1001の方法。

[本発明1012]

プラスミンまたはその誘導体および治療剤が、同時にまたは逐次的に送達される、本発明1001の方法。

[本発明1013]

治療剤が網膜細胞に送達される、本発明1001の方法。

[本発明1014]

網膜細胞が、網膜神経節細胞、網膜双極細胞、網膜水平細胞、無軸索細胞、光受容細胞、ミュラーグリア細胞、または網膜色素上皮細胞である、本発明1013の方法。

[本発明1015]

投与が眼の硝子体に対してである、本発明1001の方法。

[本発明1016]

対象において光感受性を増大させるか、または視力を改善もしくは回復させる方法であって、プラスミンまたはその誘導体およびオプシンをコードするウイルスベクターを眼の硝子体に投与する段階を含む、方法。

[本発明1017]

前記オプシンが、チャネルロドプシン、ハロロドプシン、メラノロドプシン、松果体オプシン、バクテリオロドプシン、およびプロテオロドプシン、またはその機能的バリアントからなる群より選択される、本発明1016の方法。

[本発明1018]

対象が眼の疾患または障害を有する、本発明1016～1017のいずれかの方法。

本発明の他の特性および利点が、以下の詳細な説明および特許請求の範囲から明らかであると考えられ、かつそれらによって包含される。