

【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 1 部門第 1 区分

【発行日】令和 3 年 9 月 30 日 (2021.9.30)

【公表番号】特表 2020-534865 (P2020-534865A)

【公表日】令和 2 年 12 月 3 日 (2020.12.3)

【年通号数】公開・登録公報 2020-049

【出願番号】特願 2020-531567 (P2020-531567)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/55 (2006.01)

C 1 2 N 9/22 (2006.01)

C 1 2 N 9/96 (2006.01)

C 1 2 N 15/62 (2006.01)

C 1 2 N 15/63 (2006.01)

C 1 2 N 1/15 (2006.01)

C 1 2 N 1/19 (2006.01)

C 1 2 N 1/21 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

A 6 1 K 38/46 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 29/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/10 (2006.01)

A 6 1 P 9/14 (2006.01)

C 1 2 P 21/02 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/55

C 1 2 N 9/22 Z N A

C 1 2 N 9/96

C 1 2 N 15/62 Z

C 1 2 N 15/63 Z

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 5/10

A 6 1 K 38/46

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 P 29/00

A 6 1 P 9/10

A 6 1 P 9/14

C 1 2 P 21/02 C

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 8 月 18 日 (2021.8.18)

【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】

配列番号 2 により定義される酵素に対して少なくとも 80 % 同一のアミノ酸配列を含み、C 末端テールの全部または一部の欠失を有する DNase 1 様 3 (D1L3) バリエーションを含む、細胞外クロマチン分解を必要とする対象を治療するための医薬組成物。

【請求項 2】

前記バリエーションがタンパク質または担体部分に融合または結合されており、任意に担体部分がアルブミンである、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

前記バリエーションが、不活性化核局在化シグナル (NLS) を含む、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

配列番号 2 の NLS 1 及び／または NLS 2 の全部または一部の欠失により NLS が不活性化されている、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

配列番号 2 の NLS 2 が欠失されている、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

C 末端テールが配列番号 33 によって定義される、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

前記バリエーションが、DNase 1 (D1) 由来の少なくとも 1 つのビルディングブロック置換を有し、任意に、前記バリエーションは、配列番号 2 に関して、次のアミノ酸改変：Q282 → S305 del ins K を含む、請求項 1 ～ 6 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

前記バリエーションが、配列番号 33 によって定義される C 末端テールの全部の欠失を含む、請求項 7 に記載の医薬組成物。

【請求項 9】

前記バリエーションが、配列番号 2 で定義される酵素に対して少なくとも 90 % 同一なアミノ酸配列を含む、請求項 1 ～ 8 のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項 10】

前記バリエーションが、配列番号 2 で定義される酵素に対して少なくとも 95 % 同一なアミノ酸配列を含む、請求項 1 ～ 9 のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項 11】

配列番号 2 で定義される酵素に対して少なくとも 80 % 同一のアミノ酸配列を含み、C 末端テールの全部または一部の欠失を有する DNase 1 様 3 (D1L3) バリエーションをコードする単離されたポリヌクレオチドを含む、細胞外クロマチン分解を必要とする対象を治療するための医薬組成物。

【請求項 12】

前記バリエーションがタンパク質または担体部分に融合または結合されており、任意に担体部分がアルブミンである、請求項 11 に記載の医薬組成物。

【請求項 13】

前記バリエーションが、不活性化核局在化シグナル (NLS) を含む、請求項 11 に記載の医薬組成物。

【請求項 14】

配列番号 2 の NLS 1 及び／または NLS 2 の全部または一部の欠失により NLS が不活性化されている、請求項 13 に記載の医薬組成物。

【請求項 15】

配列番号 2 の NLS 2 が欠失されている、請求項 14 に記載の医薬組成物。

【請求項 16】

前記 C 末端テールが配列番号 33 によって定義される、請求項 11 に記載の医薬組成物。

【請求項 17】

前記バリエントが、D N a s e 1 (D 1) 由来の少なくとも1つのビルディングブロック置換を有し、任意に、前記バリエントは、配列番号2に関して、次のアミノ酸改変：Q 2 8 2 _ _ S 3 0 5 d e l i n s Kを含む、請求項11～16のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項18】

前記バリエントが、配列番号33によって定義されるC末端テールの全部の欠失を含む、請求項11～17のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項19】

前記バリエントが、配列番号2で定義される酵素に対して少なくとも90%同一なアミノ酸配列を含む、請求項11～18のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項20】

前記バリエントが、配列番号2で定義される酵素に対して少なくとも95%同一なアミノ酸配列を含む、請求項11～19のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項21】

前記ポリヌクレオチドがベクターに含まれる、請求項11～20のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項22】

前記ベクターが宿主細胞に含まれる、請求項21に記載の医薬組成物。

【請求項23】

更に薬学的に許容される担体を含む、請求項1～22のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項24】

前記バリエントが非経口投与用に製剤化されている、請求項1～23のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項25】

前記対象が、慢性または急性炎症性障害を有するか；急性または慢性感染症を有するか；或いは、N E Tを含む血管閉塞を有するか、またはそのリスクがある、請求項1～24のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項26】

前記対象が、慢性好中球増加症、好中球凝集又は白血球停滞；血栓症又は血管閉塞；腸軸捻転、精巣捻転、四肢虚血再灌流、重要臓器虚血再灌流及び臓器移植から選択される虚血再灌流障害；外科的又は外傷性組織損傷、急性または慢性炎症反応または疾患；全身性エリテマトーデス（S L E）、ループス腎炎、関節リウマチ、血管炎、及び全身性硬化症から選択される自己免疫疾患；心筋梗塞、脳卒中、アテローム性動脈硬化症、及び血栓溶解療法を含む静脈血栓塞栓症から選択される心血管疾患；代謝性疾患；全身性炎症反応候群（S I R S）、敗血症、敗血症性ショック、播種性血管内凝固症候群（D I C）、及び血栓性微小血管障害（T M A）から選択される全身性炎症；嚢胞性線維症、慢性閉塞性肺疾患（C O P D）、急性肺損傷（A L I）、喫煙性肺損傷、輸血関連急性肺損傷（T R A L I）、急性呼吸促迫症候群（A R D S）、喘息、無気肺、気管支炎、及び膿胸から選択される気道の炎症性疾患；急性腎障害（A K I）及び慢性腎疾患（C K D）を含む急性及び慢性腎疾患から選択される腎炎症性疾患；移植組織に関連する炎症性疾患；或いは白血病、腫瘍転移、及び固形腫瘍から選択される癌を有する、請求項1～24のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項27】

前記対象が、管系における管閉塞を有するか、またはそのリスクがある、請求項1～23のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項28】

前記対象が、D 1 L 3の欠損、又はD 1とD 1 L 3の欠損を特徴とする疾患または病態に罹患しており、任意に、前記対象は、D n a s e 1及び／またはD n a s e 1 l 3遺伝

子に変異を有し、任意に前記対象は、D 1 及び／または D 1 L 3 の後天性の阻害剤を有し、任意に前記対象は、自己免疫疾患又は炎症性疾患を有する、請求項 1 ～ 2 7 のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項 2 9】

前記対象が、全身性エリテマトーデス（S L E）を有する、請求項 1 ～ 2 8 のいずれかに記載の医薬組成物。

【請求項 3 0】

前記対象が、ウイルス感染症を有する、請求項 1 ～ 2 8 のいずれかに記載の医薬組成物
。

【請求項 3 1】

前記対象が、急性呼吸促迫症候群（A R D S）又は急性肺損傷（A L I）を有する、請求項 1 ～ 2 7 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 3 2】

前記対象が、白血病及び固形腫瘍から任意に選択される癌を有する、請求項 1 ～ 2 7 のいずれかに記載の医薬組成物。