【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18年3月23日(2006.3.23)

【公表番号】特表2005-511644(P2005-511644A)
【公表日】平成17年4月28日(2005.4.28)
【年通号数】公開・登録公報2005-017
【出願番号】特願2003-547414(P2003-547414)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ　48/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　 9/127　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　 9/14　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　 9/72　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/7036　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/7048　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/7088　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/18　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/24　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　31/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　43/00　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/09　(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ　48/00
Ａ６１Ｋ　 9/127
Ａ６１Ｋ　 9/14
Ａ６１Ｋ　 9/72
Ａ６１Ｋ　31/7036
Ａ６１Ｋ　31/7048
Ａ６１Ｋ　31/7088
Ａ６１Ｋ　47/18
Ａ６１Ｋ　47/24
Ａ６１Ｐ　31/04
Ａ６１Ｐ　43/00　１１１
Ｃ１２Ｎ　15/00　Ａ

【手続補正書】
【提出日】平成18年1月31日(2006.1.31)
【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】
以下を含む、細胞に核酸をトランスフェクトするためのエアロゾル化組成物：
プラスミド、ファージミド、コスミドより選択されるDNA配列；
水；および
カチオン性アミノグリコシド；
ここで、組成物は生理学的pHを有し、エアロゾルは約0.5マイクロメートル～約12マイクロメートルの空気力学的直径を有する粒子からなり、粒子におけるDNA配列はカチオン性

アミノグリコシドとの相互作用によって凝縮され、かつさらにここで、凝縮がDNA配列の物理的体積における約10^3～約10^6の減少を含む、エアロゾル化組成物。
【請求項２】
カチオン性アミノグリコシドが静菌性であり、300ダルトン～約800ダルトンの平均分子量を有する、請求項1記載の組成物。
【請求項３】
カチオン性アミノグリコシドが、ゲンタマイシン、トブラマイシン、アミカシン、ストレプトマイシン、ネオマイシン、シソマイシン、およびネチルマイシン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４】
DNA配列が生物学的に活性なタンパク質をコードする、請求項1記載の組成物。
【請求項５】
DNA配列が少なくとも1つのコード領域を含む、請求項1記載の組成物。
【請求項６】
エアロゾル粒子が約2マイクロメートル～約6マイクロメートルの空気力学的直径を有する、請求項1記載の組成物。
【請求項７】
カチオン性アミノグリコシドの非存在下で得られる場合と比較して、200％を超える効率でヒト細胞をトランスフェクトする能力を特徴とする、請求項1記載の組成物。
【請求項８】
標的化部分、核局在化ペプチド、およびエンドソーム溶解ペプチドからなる群より選択される少なくとも1つの官能基をさらに含む、請求項1記載の組成物。
【請求項９】
少なくとも1つの治療的に許容される脂質をさらに含む、請求項1記載の組成物。
【請求項１０】
治療的に許容される脂質が、DNA配列をカプセル化するリポソームを含む、請求項9記載の組成物。
【請求項１１】
タンパク質を必要とする患者を治療するための薬学的製剤の製造におけるエアロゾル化組成物の使用であって、
該エアロゾル化組成物は、空気力学的直径が約0.5マイクロメートル～約12マイクロメートルのエアロゾル粒子を生じるように、プラスミド、ファージミド、およびコスミドより選択されるDNA配列、ならびにカチオン性アミノグリコシドを含む製剤をエアロゾル化することで調製されたものであり、
該エアロゾル化組成物は、患者の肺に吸入された場合、DNA配列が細胞をトランスフェクトし、タンパク質を必要とする患者を治療し得る治療有効量の生物学的に活性なタンパク質を発現するような期間および条件下で、細胞と接触する、前記使用。
【請求項１２】
組成物を膜の孔に押し付けて通過させることによってエアロゾル化が行われ、エアロゾルが約2～約6ミクロンの粒子サイズを有する、請求項11記載の使用。
【請求項１３】
カチオン性アミノグリコシドとの相互作用によってDNA配列が凝縮される、請求項11記載の使用。
【請求項１４】
凝縮がDNA配列の物理的体積における約10^3～約10^6の減少を含む、請求項11記載の使用。
【請求項１５】
DNA配列が、治療的に有効な生物学的に活性なタンパク質をコードする、請求項11記載の使用。
【請求項１６】

エアロゾルが、空気力学的粒子サイズが約2マイクロメートル～約6マイクロメートルの粒子を有する、請求項11記載の使用。

【請求項１７】

カチオン性アミノグリコシドが、ゲンタマイシン、トブラマイシン、アミカシン、ストレプトマイシン、ネオマイシン、シソマイシン、およびネチルマイシンからなる群より選択される、請求項16記載の使用。

【請求項１８】

組成物が、少なくとも1つの治療的に許容される脂質をさらに含む、請求項17記載の使用。

【請求項１９】

脂質が、核酸をカプセル化するリポソームである、請求項18記載の使用。