

【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1年12月5日(2019.12.5)

【公表番号】特表2018-532748(P2018-532748A)

【公表日】平成30年11月8日(2018.11.8)

【年通号数】公開・登録公報2018-043

【出願番号】特願2018-521987(P2018-521987)

【国際特許分類】

A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 K	38/48	(2006.01)
A 6 1 K	38/47	(2006.01)
A 6 1 P	1/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/00	(2006.01)
A 6 1 P	13/12	(2006.01)
A 6 1 P	25/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/28	(2006.01)
A 6 1 P	21/00	(2006.01)
A 6 1 K	45/06	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/198	(2006.01)
A 6 1 K	31/573	(2006.01)
A 6 1 K	31/69	(2006.01)
A 6 1 K	31/475	(2006.01)
A 6 1 K	31/675	(2006.01)
A 6 1 K	31/7004	(2006.01)
A 6 1 K	31/454	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	35/76	(2015.01)
A 6 1 K	31/27	(2006.01)
C 1 2 N	9/50	(2006.01)
C 1 2 N	7/01	(2006.01)
C 0 7 K	14/47	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	45/00	
A 6 1 K	38/48	
A 6 1 K	38/47	
A 6 1 P	1/00	
A 6 1 P	9/00	
A 6 1 P	13/12	
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	25/28	
A 6 1 P	21/00	
A 6 1 K	45/06	
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 K	31/198	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 K	31/573	
A 6 1 K	31/69	
A 6 1 K	31/475	

A 6 1 K	31/675
A 6 1 K	31/7004
A 6 1 K	31/454
A 6 1 K	48/00
A 6 1 K	35/76
A 6 1 K	31/27
C 1 2 N	9/50
C 1 2 N	Z N A
C 1 2 N	7/01
C 0 7 K	14/47

【手続補正書】

【提出日】令和1年10月25日(2019.10.25)

【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】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

対象におけるアミロイドーシスの治療又は予防における使用のための組成物であって、治療的有効量の少なくとも1種の分解酵素又はその生物学的に活性な断片を含む、前記組成物。

【請求項2】

分解酵素が、カテプシンLである、請求項1に記載の使用のための組成物。

【請求項3】

カテプシンLが、配列番号12、59、61、63、65、又は67に対する配列同一性が少なくとも85%であるアミノ酸配列を含む、請求項2に記載の使用のための組成物。

【請求項4】

カテプシンLが、配列番号11、58、60、62、64、又は66に対する同一性が少なくとも85%であるスクレオチド配列にコードされる、請求項2に記載の使用のための組成物。

【請求項5】

分解酵素が、リソソーム内部でアミロイドの形成抑制及び/又は分解を行うよう作用する、請求項1～4のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項6】

分解酵素が、細胞リソソームを標的とする、請求項1～5のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項7】

分解酵素が、前記分解酵素をリソソームに局在化するための少なくとも1つ以上のシグナルを含む、請求項1に記載の使用のための組成物。

【請求項8】

少なくとも1つ以上のシグナルが、マンノース-6リン酸を含む、請求項7に記載の使用のための組成物。

【請求項9】

分解酵素が、リソソーム内空間を標的とする、請求項1に記載の使用のための組成物。

【請求項10】

分解酵素が、細胞の外部でアミロイドの蓄積抑制及び/又は分解を行うよう作用する、請求項1に記載の使用のための組成物。

【請求項11】

分解酵素が、細胞の外部に留まるよう標的化される、請求項1_0に記載の使用のための組成物。

【請求項1_2】

分解酵素が、本来前記分解酵素をリソソームに指向させるはずの1つ以上のシグナルを欠く、請求項1_1に記載の使用のための組成物。

【請求項1_3】

分解酵素が、1つ以上のマンノース-6リン酸シグナルを欠く、請求項1_2に記載の使用のための組成物。

【請求項1_4】

対象が哺乳類である、請求項1～1_3のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項1_5】

対象がヒトである、請求項1_4に記載の使用のための組成物。

【請求項1_6】

分解酵素が、非経口的に投与される、請求項1～1_5のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項1_7】

分解酵素が、静脈内の経路、筋肉内の経路、又は腹腔内の経路を介して投与される、請求項1_6に記載の使用のための組成物。

【請求項1_8】

薬学的に許容される担体を含む、請求項1～1_7のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項1_9】

アミロイドーシスが、AAアミロイドーシス、軽鎖(AL)アミロイドーシス、及びアミロイド-ベータ(A)アミロイドーシスから選択される、請求項1～1_8のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項2_0】

アミロイドーシスを治療又は予防するための1つ以上のさらなる薬物の投与をさらに含む、請求項1～1_9のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項2_1】

1つ以上のさらなる薬物が、メルファラン、デキサメタゾン、プレドニゾン、ボルテゾミブ、レナリドミド、ピンクリスチン、ドキソルビシン、及びシクロホスファミドから選択される、請求項2_0に記載の使用のための組成物。

【請求項2_2】

対象をさらに幹細胞移植で治療する、請求項1～2_1のいずれかに記載の使用のための組成物。

【請求項2_3】

少なくとも2種の分解酵素を含む組成物であって、細胞リソソームを標的とする少なくとも1種の分解酵素及び細胞の外部に留まる少なくとも1種の分解酵素を含む、前記組成物。

【請求項2_4】

分解酵素が、カテプシンL、保護タンパク質/カテプシンA(PPCA)、ノイラミニダーゼ1(NEU1)、トリペプチジルペプチダーゼ1(TPP1)、カテプシンB、カテプシンD、カテプシンE、及びカテプシンKから選択される、請求項2_3に記載の組成物。

【請求項2_5】

対象におけるアミロイドーシスの治療又は予防における使用のための、請求項2_3に記載の組成物。

【請求項2_6】

アミロイドーシスが、AAアミロイドーシス、軽鎖(AL)アミロイドーシス、及びアミロイド-ベータ(A)アミロイドーシスから選択される、請求項2_5に記載の使用の

ための組成物。

【請求項 2 7】

1日に1回、1週間に1回、又は1か月に1回投与される、請求項1～26のいずれかに記載の使用のための組成物。