

【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 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、治療の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 1 2、5 9、6 1、6 3、6 5、又は 6 7 に対する配列同一性が少なくとも 8 5 % 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 1 1、5 8、6 0、6 2、6 4、又は 6 6 に対する同一性が少なくとも 8 5 % であるヌ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、A A アミロイドーシス、軽鎖 (A L) 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、ビンクリスチン、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 (P P C A)、ノイラミニダーゼ 1 (N E U 1)、トリペプチジルペプチダーゼ 1 (T P P 1)、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、A A アミロイドーシス、軽鎖 (A L) 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 27】

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。