【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】平成29年1月5日(2017.1.5)

【公開番号】特開2016-135146(P2016-135146A)
【公開日】平成28年7月28日(2016.7.28)
【年通号数】公開・登録公報2016-045
【出願番号】特願2016-89304(P2016-89304)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ　9/24　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/09　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　9/99　(2006.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ　9/24
Ｃ１２Ｎ　15/00　Ａ
Ｃ１２Ｎ　9/99

【手続補正書】
【提出日】平成28年11月21日(2016.11.21)
【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】
高マンノースグルコセレブロシダーゼ（ｈｍＧＣＢ）調製物であって、該ｈｍＧＣＢ調製物中の少なくとも６０％の糖鎖が、前駆体オリゴ糖の６個またはそれ以上のマンノース残基を有することを特徴とするｍｈＧＣＢ調製物。
【請求項２】
前記ｈｍＧＣＢ調製物中の少なくとも８０％の糖鎖が、前駆体オリゴ糖の６個またはそれ以上のマンノース残基を有する、請求項１記載のｍｈＧＣＢ調製物。
【請求項３】
前記ｈｍＧＣＢ調製物中の少なくとも２０％の糖鎖が、前駆体オリゴ糖の８個またはそれ以上のマンノース残基を有する、請求項１または２記載のｍｈＧＣＢ調製物。
【請求項４】
前記ｈｍＧＣＢ調製物中の少なくとも４０％の糖鎖が、前駆体オリゴ糖の８個またはそれ以上のマンノース残基を有する、請求項３記載のｍｈＧＣＢ調製物。
【請求項５】
前記ｈｍＧＣＢ調製物中の少なくとも６０％の糖鎖が、前駆体オリゴ糖の８個またはそれ以上のマンノース残基を有する、請求項４記載のｍｈＧＣＢ調製物。
【請求項６】
前記ｈｍＧＣＢ調製物中の少なくとも９０％の糖鎖が、前駆体オリゴ糖の５個またはそれ以上のマンノース残基を有する、請求項１から５いずれか１項記載のｍｈＧＣＢ調製物。
【請求項７】
前記ｈｍＧＣＢが、８個または９個のマンノース残基を有する少なくとも１本の糖鎖を有する、請求項１から６いずれか１項記載のｈｍＧＣＢ調製物。
【請求項８】
該調製物中のｈｍＧＣＢにおける５個以上のマンノース残基を有する糖鎖の４個以下のマンノース残基を有する糖鎖に対する比が、８０％：２０％である、請求項１から７いずれ

か１項記載のｈｍＧＣＢ調製物。
【請求項９】
該調製物中のｈｍＧＣＢにおける５個以上のマンノース残基を有する糖鎖の４個以下のマンノース残基を有する糖鎖に対する比が、８５％：１５％である、請求項１から７いずれか１項記載のｈｍＧＣＢ調製物。
【請求項１０】
該調製物中のｈｍＧＣＢにおける５個以上のマンノース残基を有する糖鎖の４個以下のマンノース残基を有する糖鎖に対する比が、９０％：１０％である、請求項１から７いずれか１項記載のｈｍＧＣＢ調製物。
【請求項１１】
該調製物中のｈｍＧＣＢにおける５個以上のマンノース残基を有する糖鎖の４個以下のマンノース残基を有する糖鎖に対する比が、９５％：５％である、請求項１から７いずれか１項記載のｈｍＧＣＢ調製物。
【請求項１２】
下記工程を含む方法により作成したものである、請求項１記載のｈｍＧＣＢ調製物：
グルコセレブロシダーゼ（ＧＣＢ）を発現することのできる細胞を提供し、ここで、前記細胞は、（ｉ）ＧＣＢをコードする外来性核酸配列が導入されているか、あるいは（ｉｉ）外来性調節配列を含む核酸配列が、該調節配列が内在性ＧＣＢコード化領域の発現を高めるように導入されている、ヒト細胞である；
前記細胞をＧＣＢの前駆体オリゴ糖の５糖コアに遠位の少なくとも１つのマンノース残基の除去が防止されるようにスワインソニンと接触させ；さらに
前記細胞にｈｍＧＣＢを産生させ、それによって、ｈｍＧＣＢ調製物を製造する。
【請求項１３】
請求項１から１２いずれか１項記載のｈｍＧＣＢ調製物をゴーシェ病の治療に適した量で含む、ゴーシェ病を治療するための医薬組成物。
【請求項１４】
医薬上許容される担体または希釈剤をさらに含む、請求項１３記載の医薬組成物。
【請求項１５】
非経口投与用に製剤化されている、請求項１３または１４記載の医薬組成物。
【請求項１６】
前記非経口投与が、静脈内、皮内および皮下投与よりなる群から選択される、請求項１５記載の医薬組成物。
【請求項１７】
静脈内投与用に製剤化されている、請求項１３から１６いずれか１項記載の医薬組成物。
【請求項１８】
前記ゴーシェ病がＩ型ゴーシェ病、II型ゴーシェ病、またはIII型ゴーシェ病である、請求項１３から１７いずれか１項記載の医薬組成物。
【請求項１９】
該組成物が、骨の合併症、骨痛、骨損傷、オステオペニア、骨壊死、無血管性骨壊死、特発性骨折、貧血、肝脾腫大症、脾結節、肝機能不全、血小板減少症、発育遅延および思春期発達遅延、項部強直、感情鈍麻、カタトニー、斜視、深部反射亢進、および喉頭痙攣よりなる群から選択される、ゴーシェ病の１つ以上の症状を軽減または抑制する、請求項１３から１８いずれか１項記載の医薬組成物。