

【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30年8月30日 (2018.8.30)

【公開番号】特開2017-25008(P2017-25008A)

【公開日】平成29年2月2日 (2017.2.2)

【年通号数】公開・登録公報2017-005

【出願番号】特願2015-142810(P2015-142810)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 K 35/761 (2015.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088 Z N A

A 6 1 P 27/02

A 6 1 K 35/761

A 6 1 K 48/00

C 1 2 N 15/00 A

C 1 2 N 5/10

【手続補正書】

【提出日】平成30年7月17日 (2018.7.17)

【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】

毛様体神経栄養因子 (CNTF) をコードするヌクレオチド配列を含有するアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターを含む、網膜色素変性症を治療または予防するための医薬組成物。

【請求項 2】

AAVベクターがAAV血清型2ゲノムを含有する、請求項1に記載の組成物。

【請求項 3】

CNTFがヒトCNTFである、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

AAVベクターが、CNTFをコードするヌクレオチド配列に機能しうるように連結された分泌シグナル配列を含有する、請求項 1 ～ 3 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 5】

分泌シグナル配列が、ヒト神経栄養因子 (NGF) 分泌シグナル配列である、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 6】

AAVベクターが、網膜下注射、直接網膜注射、または硝子体内注射によって被験体の眼に投与される、請求項 1 ～ 5 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 7】

AAVベクターが網膜下注射によって被験体の眼に投与される、請求項 1 ～ 6 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 8】

AAVベクターが単回用量で被験体に投与される、請求項 1 ～ 7 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 9】

被験体が、AAVベクター投与の時点で、治療を受ける眼において桿体細胞を実質的に欠いている、請求項 1 ～ 8 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 10】

網膜色素変性症に起因する視細胞の変性が、被験体の一生にわたって実質的に予防される、請求項 1 ～ 9 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 11】

網膜色素変性症に起因する錐体細胞の変性が、被験体の一生にわたって実質的に予防される、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

網膜色素変性症に罹患しているか、または網膜色素変性症を発症するリスクのある被験体において、視細胞死を減少させるための組成物であって、該組成物が、毛様体神経栄養因子 (CNTF) をコードするヌクレオチド配列を含有するアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターを含み、該組成物の該被験体への投与により治療を受けた眼において視覚機能が実質的に回復するかまたは維持される、前記組成物。

【請求項 13】

網膜色素変性症に起因する視細胞の変性が、被験体の一生にわたって実質的に予防される、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 14】

網膜色素変性症に起因する錐体細胞の変性が、被験体の一生にわたって実質的に予防される、請求項 12 または 13 に記載の組成物。

【請求項 15】

被験体が、AAVベクターを含む組成物の投与の時点で、治療を受ける眼において桿体細胞を実質的に欠いている、請求項 12 ～ 14 のいずれか 1 項に記載の組成物。