【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2年9月17日(2020.9.17)

【公表番号】特表2019-524821(P2019-524821A)
【公表日】令和1年9月5日(2019.9.5)
【年通号数】公開・登録公報2019-036
【出願番号】特願2019-507811(P2019-507811)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ　31/198　　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　43/00　　(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ　31/198
Ａ６１Ｐ　43/00　　１１１

【手続補正書】
【提出日】令和2年8月6日(2020.8.6)
【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】
必要性のある対象におけるリソソーム蓄積疾患（ＬＳＤ）又はＬＳＤに関連する１以上の症状を治療する際の使用のためのものであって、ＬＳＤがニーマンピック病Ｃ型ではない、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。
【請求項２】
ＬＳＤが、グリコーゲン蓄積症、ムコ多糖症、ムコリピドース、オリゴ糖症、リピドーシス、スフィンゴ脂質症、及びリソソーム輸送病から選択されることを特徴とする、請求項１による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。
【請求項３】
ＬＳＤが、一次リソソーム加水分解酵素欠損症、リソソーム酵素の翻訳後プロセシング欠損症、リソソーム酵素の輸送欠損症、リソソーム酵素保護の欠損症、可溶性非酵素リソソームタンパク質の欠損症、膜貫通（非酵素）タンパク質欠損症、及び未分類の欠損症から選択されることを特徴とする、請求項１による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。
【請求項４】
ＬＳＤが、テイ・サックス病、テイ・サックス病のＡＢ変異体、サンドホフ病、ニーマンピック病Ａ型、ニーマンピック病Ｂ型、ファブリー病、神経性セロイドリポフスチン症、クラッベ病、ファーバー病、ゴーシェ病、異染性白質ジストロフィー、多発性スルファターゼ欠損症、ムコリピドーシスＩＩ、ムコリピドーシスＩＩＩ、ＭＰＳ　ＩＩＩ、ＭＰＳ　ＶＩＩ、ＧＭ１ガングリオシドーシス、及びアスパルチルグルコサミン尿症から選択されることを特徴とする、請求項１による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。
【請求項５】
そうでなければ典型的な疾患の進行により現れると予期されるであろうＬＳＤの１つ以上の症状又はＬＳＤの発症を遅延させるための請求項１による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。
【請求項６】

経時的にＬＳＤ又はＬＳＤに関連する１以上の症状の進行を逆行させるための請求項１による使用のためのものであって、その使用が、少なくとも約３ケ月、少なくとも約６ケ月、少なくとも約１年、少なくとも約２年、及び少なくとも約５年から選択される期間においてその必要性のある対象に治療的に有効な量のアセチル－ロイシンを投与することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項７】

必要性のある対象における経時的にＬＳＤの生化学的マーカーを改善するための請求項１による使用のためのものであって、その使用が、少なくとも約３ケ月、少なくとも約６ケ月、少なくとも約１年、少なくとも約２年、及び少なくとも約５年から選択される期間に対して必要性のある対象に、治療的に有効な量のアセチル－ロイシンを投与することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項８】

生化学的マーカーが増加したリソソーム量である、請求項７による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項９】

請求項１から８のいずれかによる使用のためのものであって、その使用が、必要性のある対象に、その対象が無症候性であるとき、治療的に有効な量のアセチル－ロイシンの投与を開始することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１０】

対象がＬＳＤの遺伝的及び／又は生化学的マーカーを有することが見出された後に最初の投与が生じることを特徴とする、請求項９による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１１】

請求項１から５のいずれかによる使用のためのものであって、その使用が、少なくとも約３ケ月、少なくとも約６ケ月、少なくとも約１年、少なくとも約２年、及び少なくとも約５年から選択される期間に対して必要性のある対象に、治療的に有効な量のアセチル－ロイシンを投与することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１２】

アセチル－ロイシンが、アセチル－ＤＬ－ロイシンである、請求項１から１１のいずれかによる使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１３】

アセチル－ロイシンが、Ｌ－エナンチオマー又はＤ－エナンチオマーのエナンチオマー過剰を有する、請求項１から１１のいずれかによる使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１４】

アセチル－ロイシンが、Ｌ－エナンチオマー又はＤ－エナンチオマーのいずれかの単一のエナンチオマー型である、請求項１から１１のいずれかによる使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１５】

請求項１から１１のいずれかによる使用のためのものであって、その使用が、１日当たり約１ｇから約１５ｇ、１日当たり約１ｇから約１０ｇ、１日当たり約１．５ｇから約７ｇ、１日当たり約４ｇから約６ｇ、又は１日当たり約４ｇから約５ｇ、の治療的に有効な量で、必要性のある対象に、アセチル－ロイシンを投与することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１６】

必要性のある対象におけるＬＳＤに関連する１以上の症状の重症度を低下させる又はその症状を除去する或いはＬＳＤの重症度を低下させるための請求項１による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１７】

必要性のある対象におけるニーマン－ピック病Ｃ型に関連する１以上の症状又はニーマ

ン－ピック病Ｃ型を治療する際の使用のためのものであって、その使用が、少なくとも約６ケ月、少なくとも約１年、少なくとも約２年、及び少なくとも約５年から選択される期間に対して必要性のある対象に、治療的に有効な量のアセチル－ロイシンを投与することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１８】

典型的な病気の進行に比べて、経時的にニーマン－ピック病Ｃ型に関連する１以上の症状又はニーマン－ピック病Ｃ型の進行を遅らせるための請求項１７による使用のためのものであって、その使用が、少なくとも約６ケ月、少なくとも約１年、少なくとも約２年、及び少なくとも約５年から選択される期間に対して必要性のある対象に、治療的に有効な量のアセチル－ロイシンを投与することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項１９】

経時的にニーマン－ピック病Ｃ型に関連する１以上の症状又はニーマン－ピック病Ｃ型の進行を逆行させるための請求項１７による使用のためのものであって、その使用が、少なくとも約６ケ月、少なくとも約１年、少なくとも約２年、及び少なくとも約５年から選択される期間に対して必要性のある対象に、治療的に有効な量のアセチル－ロイシンを投与することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２０】

経時的にニーマン－ピック病Ｃ型の生化学的マーカーを必要性のある対象において改善するための請求項１７による使用のためのものであって、その使用が、少なくとも約６ケ月、少なくとも約１年、少なくとも約２年、及び少なくとも約５年から選択される期間に対してその必要性のある対象に治療的に有効な量のアセチル－ロイシンを投与すること含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２１】

生化学的マーカーが増加したリソソーム量である、請求項２０による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２２】

請求項１７から２１のいずれかによる使用のためのものであって、その使用が、必要性のある対象に、その対象が無症候性であるとき、治療的に有効な量のアセチル－ロイシンの投与を開始することを含む、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２３】

対象がニーマン－ピック病Ｃ型の遺伝的及び／又は生化学的マーカーを有することが見出された後に最初の投与が生じることを特徴とする、請求項２２による使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２４】

アセチル－ロイシンが、アセチル－ＤＬ－ロイシンである、請求項１７から２３のいずれかによる使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２５】

アセチル－ロイシンが、Ｌ－エナンチオマー又はＤ－エナンチオマーのエナンチオマー過剰を有する、請求項１７から２３のいずれかによる使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２６】

アセチル－ロイシンが、Ｌ－エナンチオマー又はＤ－エナンチオマーのいずれかの単一のエナンチオマー型である、請求項１７から２３のいずれかによる使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２７】

単一のエナンチオマー型が、Ｌ－エナンチオマーである、請求項２６の方法における使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。

【請求項２８】

治療的に有効な量のアセチル－ロイシンが、１日当たり約１ｇから約１５ｇ、１日当た

り約１ｇから約１０ｇ、１日当たり約１．５ｇから約７ｇ、１日当たり約４ｇから約６ｇ、又は１日当たり約４ｇから約５ｇ、である、請求項１７から２３のいずれかによる使用のための、アセチル－ロイシン又はその薬学的に許容される塩。