

【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5月14日(2020.5.14)

【公表番号】特表2019-515894(P2019-515894A)

【公表日】令和1年6月13日(2019.6.13)

【年通号数】公開・登録公報2019-022

【出願番号】特願2018-552049(P2018-552049)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)  
 A 6 1 K 38/16 (2006.01)  
 A 6 1 K 39/395 (2006.01)  
 A 6 1 K 31/7088 (2006.01)  
 A 6 1 K 48/00 (2006.01)  
 A 6 1 K 31/713 (2006.01)  
 A 6 1 K 31/7105 (2006.01)  
 A 6 1 K 45/06 (2006.01)  
 A 6 1 P 43/00 (2006.01)  
 A 6 1 P 25/14 (2006.01)  
 A 6 1 P 21/02 (2006.01)  
 A 6 1 P 25/00 (2006.01)  
 A 6 1 P 21/04 (2006.01)  
 A 6 1 P 27/02 (2006.01)  
 C 1 2 N 5/071 (2010.01)  
 C 1 2 N 15/113 (2010.01)  
 C 1 2 N 15/115 (2010.01)  
 C 0 7 K 16/18 (2006.01)  
 C 1 2 N 15/13 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 45/00 Z N A  
 A 6 1 K 38/16  
 A 6 1 K 39/395 D  
 A 6 1 K 39/395 N  
 A 6 1 K 31/7088  
 A 6 1 K 48/00  
 A 6 1 K 31/713  
 A 6 1 K 31/7105  
 A 6 1 K 45/06  
 A 6 1 P 43/00 1 2 1  
 A 6 1 P 25/14  
 A 6 1 P 21/02  
 A 6 1 P 25/00  
 A 6 1 P 21/04  
 A 6 1 P 27/02  
 C 1 2 N 5/071  
 C 1 2 N 15/113 Z  
 C 1 2 N 15/115 Z  
 C 0 7 K 16/18  
 C 1 2 N 15/13

## 【手続補正書】

【提出日】令和2年4月3日(2020.4.3)

## 【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】

細胞における反復非A T Gタンパク質(R A Nタンパク質)翻訳を調節する方法における使用のための真核生物開始因子3(e I F 3)調節剤であって、該方法は、反復非A T Gタンパク質(R A Nタンパク質)を発現する細胞を有効量の該e I F 3調節剤と接触させることを含む、使用のためのe I F 3調節剤。

【請求項2】

R A Nタンパク質が、ポリ-グルタミンでないか、またはR A Nタンパク質が、ポリ-アラニン、ポリ-ロイシン、ポリ-セリン、ポリ-システイン、またはポリ-グルタミンである、請求項1に記載の使用のためのe I F 3調節剤。

【請求項3】

R A Nタンパク質が、ハンチントン病(H D、H D L 2)、脆弱性X症候群(F R A X A)、球脊髄性筋萎縮症(S B M A)、歯状核赤核淡蒼球ルイ体萎縮症(D R P L A)、脊髄小脳失調症1(S C A 1)、脊髄小脳失調症2(S C A 2)、脊髄小脳失調症3(S C A 3)、脊髄小脳失調症6(S C A 6)、脊髄小脳失調症7(S C A 7)、脊髄小脳失調症8(S C A 8)、脊髄小脳失調症12(S C A 12)、または脊髄小脳失調症17(S C A 17)、筋萎縮性側索硬化症(A L S)、脊髄小脳失調症36型(S C A 36)、脊髄小脳失調症29型(S C A 29)、脊髄小脳失調症10型(S C A 10)、筋強直性ジストロフィー1型(D M 1)、筋強直性ジストロフィー2型(D M 2)、またはフックス角膜ジストロフィー(例えば、C T G 1 8 1)と関連する遺伝子によってコードされる、請求項1または2に記載の使用のためのe I F 3調節剤。

【請求項4】

e I F 3調節剤が、タンパク質、核酸、または小分子であり、所望により核酸が、阻害性核酸であり、所望により阻害性核酸が、d s R N A、s i R N A、s h R N A、m i R N A、および人工m i R N A(a m i - R N A)からなる群から選択される干渉R N A、またはアンチセンスオリゴヌクレオチド(A S O)である、請求項1から3のいずれかに記載の使用のためのe I F 3調節剤。

【請求項5】

e I F 3調節剤が、e I F 3 a、e I F 3 b、e I F 3 c、e I F 3 d、e I F 3 e、e I F 3 f、e I F 3 g、e I F 3 h、e I F 3 i、e I F 3 j、e I F 3 k、e I F 3 l、およびe I F 3 mからなる群から選択されるe I F 3サブユニットの発現を増加または低下させる、請求項1から4のいずれかに記載の使用のためのe I F 3調節剤。

【請求項6】

細胞が、対象に位置し、所望により細胞が、対象の脳に位置する、請求項1から5のいずれかに記載の使用のためのe I F 3調節剤。

【請求項7】

反復非A T Gタンパク質(R A Nタンパク質)翻訳と関連する疾患を処置する方法における使用のための真核生物開始因子3(e I F 3)調節剤であって、該方法は、反復非A T Gタンパク質(R A Nタンパク質)を発現する対象に有効量の該e I F 3調節剤を投与することを含む、使用のためのe I F 3調節剤。

【請求項8】

R A Nタンパク質が、ポリ-アラニン、ポリ-ロイシン、ポリ-セリン、ポリ-システイン、ポリ-グルタミン、p o l y - L e u - P r o - A l a - C y s(配列番号:6)

、poly - Gln - Ala - Gly - Arg (配列番号：5)、poly - Gly - Pro、poly - Gly - Arg、poly - Gly - Ala、またはpoly - Pro - Ala、poly - Pro - Arg、poly - Gly - Proである、請求項7に記載の使用のためのeIF3調節剤。

【請求項9】

反復非ATGタンパク質(RANタンパク質)翻訳と関連する疾患が、ハンチントン病(HD、HDL2)、脆弱性X症候群(FRAXA)、球脊髄性筋萎縮症(SBMA)、歯状核赤核淡蒼球ルイ体萎縮症(DRPLA)、脊髄小脳失調症1(SCA1)、脊髄小脳失調症2(SCA2)、脊髄小脳失調症3(SCA3)、脊髄小脳失調症6(SCA6)、脊髄小脳失調症7(SCA7)、脊髄小脳失調症8(SCA8)、脊髄小脳失調症12(SCA12)、または脊髄小脳失調症17(SCA17)、筋萎縮性側索硬化症(ALS)、脊髄小脳失調症36型(SCA36)、脊髄小脳失調症29型(SCA29)、脊髄小脳失調症10型(SCA10)、筋強直性ジストロフィー1型(DM1)、筋強直性ジストロフィー2型(DM2)、またはフックス角膜ジストロフィー(例えば、CTG181)である、請求項7または8に記載の使用のためのeIF3調節剤。

【請求項10】

eIF3調節剤が、タンパク質、核酸、または小分子であり、所望により核酸が、阻害性核酸であり、所望により阻害性核酸が、dsRNA、siRNA、shRNA、miRNA、および人工miRNA(ami-RNA)からなる群から選択される干渉RNA、またはアンチセンスオリゴヌクレオチド(ASO)である、請求項7から9のいずれかに記載の使用のためのeIF3調節剤。

【請求項11】

eIF3fまたはeIF3mの発現を低下させる、請求項7から10のいずれかに記載の使用のためのeIF3調節剤。

【請求項12】

方法が、反復非ATGタンパク質(RANタンパク質)翻訳と関連する疾患に対するさらなる治療剤を対象に投与することをさらに含む、請求項7から11のいずれかに記載の使用のためのeIF3調節剤。

【請求項13】

さらなる治療剤が、抗体、所望によりRAN反復拡張に特異的に結合する抗体または反復拡張のC-末端であるRANタンパク質のユニークな(unique)領域に特異的に結合する抗体、またはさらなる阻害性核酸である、請求項12に記載の使用のためのeIF3調節剤。

【請求項14】

抗体が、RAN反復拡張に特異的に結合するか、または反復拡張のC-末端であるRANタンパク質のユニークな領域に特異的に結合する、反復非ATGタンパク質(RANタンパク質)翻訳と関連する疾患を処置する方法における使用のための抗体。

【請求項15】

抗体が、ポリ-セリン反復、または配列番号：9に示されている配列を含むユニークな領域に特異的に結合する、請求項14に記載の方法。