

【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29年3月16日(2017.3.16)

【公表番号】特表2016-509018(P2016-509018A)

【公表日】平成28年3月24日(2016.3.24)

【年通号数】公開・登録公報2016-018

【出願番号】特願2015-557515(P2015-557515)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 13/12 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 35/761 (2015.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 0 7 K 14/485 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 13/12

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 35/761

A 6 1 K 31/713

C 1 2 N 15/00 Z N A A

C 0 7 K 14/485

【手続補正書】

【提出日】平成29年2月10日(2017.2.10)

【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】

腎嚢胞性疾患に罹患している対象の嚢胞形成、嚢胞の数又は嚢胞のサイズを低減するための医薬組成物であって、VEGF-Cポリペプチド；VEGF-Dポリペプチド；VEGF-Cポリペプチドをコードする核酸；VEGF-Dポリペプチドをコードする核酸からなるリストから選択される作用物質を含む医薬組成物。

【請求項2】

前記腎嚢胞性疾患がPKD又は嚢胞性異形成であり、前記PKDが任意にARPKD又はADPKDである、請求項1に記載の使用される医薬組成物。

【請求項3】

前記嚢胞形成、嚢胞の数又は嚢胞のサイズの低減が、前記疾患の進行を抑制すること、腎不全の可能性もしくは重症度又は腎機能の低下を防止又は軽減すること；又は腎臓のサイズ/体重の比を小さくすることである、請求項1又は2に記載の医薬組成物。

【請求項4】

前記作用物質が

(i) VEGF-C；

(i i) V E G F R - 3 への結合活性及びリンパ管新生活性を維持した V E G F - C の断片；

(i i i) V E G F - C と少なくとも 70 % の同一性を共有する V E G F - C の変異体であって、 V E G F R - 3 への結合活性及びリンパ管新生活性を維持している変異体；

(i v) C y s 1 5 6 が異なる残基、好ましくは S e r 残基によって置換されている V E G F - C ^{1 5 6} である V E G F - C の誘導体であって、 V E G F - C に対する低い V E G F R - 2 の結合親和性を有する誘導体；

(v) D - アミノ酸を含む V E G F - C の誘導体、
からなるリストから選択される、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

前記作用物質が

(i) V E G F - D ；

(i i) V E G F R - 3 への結合活性及びリンパ管新生活性を維持した V E G F - D の断片；

(i i i) V E G F - D と少なくとも 70 % の同一性を共有する V E G F - D の変異体であって、 V E G F R - 3 への結合活性及びリンパ管新生活性を維持している変異体；

(i v) D - アミノ酸を含む V E G F - D の誘導体；

からなるリストから選択される、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

前記作用物質が V E G F - C である、請求項 4 に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

前記作用物質が V E G F - D である、請求項 5 に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

前記作用物質が請求項 4 ~ 7 のいずれか 1 項で規定された V E G F - C ポリペプチド又は V E G F - D ポリペプチドである作用物質をコードするヌクレオチド配列を含む核酸である、請求項 1 ~ 7 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 9】

前記核酸が、哺乳動物対象の細胞での前記作用物質をコードする配列の転写のための、 V E G F - C ポリペプチド又は V E G F - D ポリペプチドをコードするヌクレオチド配列に機能的に連結された、プロモーターを含む遺伝子治療ベクターである、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

前記 V E G F - C ポリペプチド又は V E G F - D ポリペプチドをコードするヌクレオチド配列が、前記作用物質の配列と共にインフレームで分泌シグナル配列もコードする、請求項 9 に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

前記遺伝子治療ベクターが、アデノウイルスベクター又はアデノ随伴ウイルスベクターである、請求項 9 又は 10 に記載の医薬組成物。

【請求項 12】

任意選択の前記対象の前記疾患の診断又は前記疾患に対する感受性の診断の後に、嚢胞の減少についての予防のために、前記対象に予防有効量投与される、請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 13】

腎臓の標的部位に注射により直接的に投与される、請求項 1 ~ 12 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 14】

毎週投与される、請求項 12 又は 13 に記載の医薬組成物。

【請求項 15】

前記嚢胞形成、嚢胞の数又は嚢胞のサイズの低減が、嚢胞性腎疾患の別の治療法と併用され、前記別の治療法が、症状又は疾患の修飾である、請求項 1 ~ 14 のいずれか 1 項に

記載の医薬組成物。