

【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 6 部門第 1 区分

【発行日】令和 3 年 11 月 4 日 (2021.11.4)

【公表番号】特表 2020-535448 (P2020-535448A)

【公表日】令和 2 年 12 月 3 日 (2020.12.3)

【年通号数】公開・登録公報 2020-049

【出願番号】特願 2020-538771 (P2020-538771)

【国際特許分類】

G 0 1 N 33/53 (2006.01)

G 0 1 N 33/543 (2006.01)

G 0 1 N 21/78 (2006.01)

【F I】

G 0 1 N 33/53 D

G 0 1 N 33/543 5 7 5

G 0 1 N 21/78 C

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 9 月 27 日 (2021.9.27)

【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】

(i) 電気化学ルミネセンスに基づく免役アッセイを使用して、対象から得られた第 1 の生体試料中で、1 以上の R A N タンパク質を検出すること；

(i i) 電気化学ルミネセンスに基づく免役アッセイを使用して、対象から得られた第 2 の生体試料中で、1 以上の R A N タンパク質を検出すること、ここで、第 2 の生体試料は、対象に治療剤を投与後に、得られる；

および

(i i i) 第 2 の生体試料中で検出される R A N タンパク質の量が、第 1 の生体試料中で検出される R A N タンパク質の量未満である場合、対象への治療剤の投与が、対象における 1 以上の R A N タンパク質のレベルの変化に結果としてなることを決定すること、を備える、R A N タンパク質発現における薬動学的変化を測定するための方法。

【請求項 2】

第 1 の、および / または第 2 の生体試料が、血液試料、または組織試料であり、任意にここで、前記組織試料が、C N S 組織試料である、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 3】

対象が、哺乳動物の対象であり、任意にここで、前記対象が、ヒトまたはマウスであり、任意にここで、前記対象が C 9 - B A C マウスである、請求項 1 または 2 に記載の方法。

【請求項 4】

対象が、

(i) C 9 O R F 7 2 遺伝子中の G G G G C C ヘキサヌクレオチド配列繰り返し伸長、任意にここで、対象は、少なくとも 1 0 0、少なくとも 2 0 0、少なくとも 5 0 0、少なくとも 1 0 0 0、または少なくとも 5 0 0 0 の G G G G C C 繰り返し伸長を備える、

または

(i i) C 9 O R F 7 2 遺伝子中の T G G G C C ヘキサヌクレオチド配列繰り返し伸長、

任意にここで、対象は、少なくとも100、少なくとも200、少なくとも500、少なくとも1000、または少なくとも5000のTGGGC繰り返し伸長を備える、により特徴づけられる、請求項1～3のいずれか一項に記載の方法。

【請求項5】

第1の、および/または第2の生体試料中に検出される1以上のRANタンパク質が、ポリ(GP)、ポリ(GR)、ポリ(PR)、およびポリ(PA)から選択される、請求項1～4のいずれか一項に記載の方法。

【請求項6】

2、3、または4つのRANタンパク質が、第1の、および/または第2の生体試料中に検出される、請求項1～5のいずれか一項に記載の方法。

【請求項7】

電気化学ルミネセンスに基づく免役アッセイが、第1の、および/または第2の生体試料を1以上の抗RANタンパク質抗体に接触させるステップを備え、任意にここで、前記抗RAN抗体が、抗ポリ(GP)抗体、抗ポリ(GR)抗体、抗ポリ(PR)抗体、および抗ポリ(PA)抗体から選択される、請求項1～6のいずれか一項に記載の方法。

【請求項8】

抗RAN抗体が、以下：

(i) RANタンパク質のジアミノ酸繰り返し領域に結合し、任意にここで、ジアミノ酸繰り返し領域が、ポリ(GP)、ポリ(GR)、ポリ(PR)、またはポリ(PA)である；または

(ii) RANタンパク質のC末端部分に結合し、任意にここで、RANタンパク質が、ポリ(GP)、ポリ(GR)、ポリ(PR)、またはポリ(PA)ジアミノ酸繰り返し領域を備える、請求項7に記載の方法。

【請求項9】

1以上の抗RANタンパク質抗体が、ポリクローナル抗体であるか、またはモノクローナル抗体である、請求項7または8に記載の方法。

【請求項10】

電気化学ルミネセンスに基づく免役アッセイが、メソスケール検出(MSD)アッセイである、請求項1～9のいずれか一項に記載の方法。

【請求項11】

電気化学ルミネセンスに基づく免役アッセイが、第1の、および/または第2の生体試料が対象から得られる2日以内に遂行され、任意にここで、電気化学ルミネセンスに基づく免役アッセイが、第1の、および/または第2の生体試料が対象から得られる24時間以内に遂行される、請求項1～10のいずれか一項に記載の方法。

【請求項12】

電気化学ルミネセンスに基づく免役アッセイを遂行する前に、第1の、および/または第2の生体試料が、23未満の温度で保存され、任意にここで、第1の、および/または第2の生体試料が、4以下の温度で保存される、請求項1～11のいずれか一項に記載の方法。

【請求項13】

(i) 第1の生体試料が、治療剤の投与の前、1週と1分の間に得られる、および/または

(ii) 第2の生体試料が、治療剤の投与の後、1時間と1週の間に得られる、請求項1～12のいずれか一項に記載の方法。

【請求項14】

対象が、筋萎縮性側索硬化症(ALS)および/または前頭側頭型認知症(FTD)、脊髄小脳失調タイプ36(SCA36)またはハンチントン病(HD)を有するか、または有すると疑われる、請求項1～13のいずれか一項に記載の方法。

【請求項15】

治療剤が、小分子、干渉RNA、タンパク質またはそのフラグメント、または抗体であ

り、任意にここで、治療剤が、メトホルミン、メトホルミン誘導体、d s R N A、s i R N A、m i R N A、a m i R N A、アンチセンスオリゴヌクレオチド（A S O）、アプタマー、または抗 R A N 抗体である、請求項 1 ~ 1 4 のいずれか一項に記載の方法。