

【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 1 年 10 月 31 日 (2019.10.31)

【公表番号】特表 2018-532763 (P2018-532763A)

【公表日】平成 30 年 11 月 8 日 (2018.11.8)

【年通号数】公開・登録公報 2018-043

【出願番号】特願 2018-523444 (P2018-523444)

【国際特許分類】

A 6 1 K 38/43 (2006.01)

A 6 1 P 13/02 (2006.01)

A 6 1 P 17/14 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 19/10 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 47/60 (2017.01)

A 6 1 K 31/205 (2006.01)

C 1 2 N 9/88 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 38/43

A 6 1 P 13/02

A 6 1 P 17/14

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 19/10

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 47/60

A 6 1 K 31/205

A 6 1 P 43/00 1 2 1

C 1 2 N 9/88 Z N A

【手続補正書】

【提出日】令和 1 年 9 月 20 日 (2019.9.20)

【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】

対象におけるホモシスチン尿症の治療に使用するための組成物であって、

前記組成物は、単離ヒトランケートシスタチオニン シンターゼ (h t C B S) 突然変異ポリペプチドを含み、前記対象に投与されるものであり、

前記単離 h t C B S 突然変異ポリペプチドは、P E G 化されているとともに、0 . 0 1 ~ 1 0 m g / k g の用量で少なくとも週 1 回投与される、組成物。

【請求項 2】

必要とする対象におけるシスタチオニンおよびシステインの少なくとも一方を増加させる治療方法に使用するための組成物であって、

前記組成物は、単離ヒトランケートシスタチオニン シンターゼ (h t C B S) 突然変異ポリペプチドを含み、前記対象に投与されるものであり、

前記単離 h t C B S 突然変異ポリペプチドは、P E G 化されているとともに、0 . 0 1

～ 10 mg / kg の用量で少なくとも週 1 回投与される、組成物。

【請求項 3】

必要とする対象におけるホモシステイン、メチオニン、および S - アデノシルホモシステインの少なくとも 1 つを減少させる治療方法に使用するための組成物であって、

前記組成物は、単離ヒトランケートシスタチオニン シンターゼ (h t C B S) 突然変異ポリペプチドを含み、前記対象に投与されるものであり、

前記単離 h t C B S 突然変異ポリペプチドは、PEG 化されているとともに、0.01 ～ 10 mg / kg の用量で少なくとも週 1 回投与される、組成物。

【請求項 4】

肝疾患の治療に使用するための組成物であって、

前記組成物は、単離ヒトランケートシスタチオニン シンターゼ (h t C B S) 突然変異ポリペプチドを含み、対象に投与されるものであり、

前記単離 h t C B S 突然変異ポリペプチドは、PEG 化しているとともに、0.01 ～ 10 mg / kg の用量で少なくとも 1 日 1 回、少なくとも 4 週間投与される、組成物。

【請求項 5】

前記 PEG が、低分子量直鎖 PEG である、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 6】

前記 PEG が、高分子量 4 アーム分枝鎖 PEG である、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 7】

前記用量が、0.05、0.1、0.33、0.5、0.66、1、2、および 5 mg / kg からなる群から選択される量である、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 8】

前記用量が、0.4 mg / kg である、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 9】

単離 h t C B S 突然変異ポリペプチドが、ベタインと同時に投与される、請求項 1 ～ 3 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 10】

ベタインが、前記単離 h t C B S 突然変異ポリペプチドよりも前に投与される、請求項 1 ～ 3 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 11】

前記 h t C B S 突然変異ポリペプチドが、少なくとも週 2 回投与される、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 12】

前記単離 h t C B S 突然変異ポリペプチドが、ME - 200GS、ME - 200MA0B、ME - 400MA、GL4 - 400MA、および ME - 050GS からなる群から選択される少なくとも 1 つにより PEG 化されている、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 13】

シスタチオニンの量が、前記対象内で 0.008 μM 超に増加される、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 14】

(i) シスタチオニンの量が、前記対象内で 0.005 ～ 0.35 μM に増加される、

(i i) システインの量が、前記対象内で 140 μM 超に増加される；または、

(i i i) システインの量が、前記対象内で 200 ～ 400 μM に増加される、請求項 13 に記載の組成物。

【請求項 15】

ホモシステインの量が、100 μM 未満である、請求項 3 に記載の組成物。

【請求項 16】

ホモシステインの量が、10 μ Mである、請求項15に記載の組成物。

【請求項17】

メチオニンの量が、50 μ M未満である、請求項15に記載の組成物。

【請求項18】

メチオニンの量が、30 μ Mである、請求項17に記載の組成物。

【請求項19】

S - アデノシルホモシステインの量が、0.14 μ M未満に減少される、請求項17に記載の組成物。

【請求項20】

S - アデノシルホモシステインの量が、0.015 μ Mに減少される、請求項19に記載の組成物。

【請求項21】

肝実質への損傷が低減される、請求項4に記載の組成物。

【請求項22】

対象におけるホモシチン尿症の治療に使用するための組成物であって、
前記組成物は、配列番号3のアミノ酸15位における突然変異を含む単離ヒトトランケートシスタチオニンシンターゼ(h t C B S)突然変異ポリペプチドを含み、前記対象に投与されるものであり、

前記単離h t C B S突然変異ポリペプチドは、ME - 200GS PEG分子によりPEG化されている、組成物。

【請求項23】

前記突然変異が、システインについてのセリンの置換である、請求項22に記載の組成物。

【請求項24】

前記組成物が、0.1 mg / kg ~ 2.4 mg / kgの範囲から選択される用量で投与される、請求項22に記載の組成物。

【請求項25】

前記組成物が、0.01 mg / kg ~ 0.5 mg / kg、0.3 mg / kg ~ 0.7 mg / kg、0.5 mg / kg ~ 0.9 mg / kg、および0.7 mg / kg ~ 1.1 mg / kgからなる群の範囲から選択される用量で投与される、請求項22に記載の組成物。

【請求項26】

骨粗鬆症、薄毛、または眼球異常からなる群から選択される少なくとも1つの疾患、障害、または病態の治療に使用するための組成物であって、

前記組成物は、配列番号3のアミノ酸15位における突然変異を含む単離ヒトトランケートシスタチオニンBシンターゼ(h t C B S)突然変異ポリペプチドを含み、前記対象に投与されるものであり、

前記単離h t C B S突然変異ポリペプチドは、ME - 200GS PEG分子によりPEG化されている、組成物。

【請求項27】

前記対象が、メチオニン制限食に供されていない、請求項26に記載の組成物。

【請求項28】

前記対象が、メチオニン制限食に供されている、請求項26に記載の組成物。

【請求項29】

前記対象が、ヒトである、請求項1 ~ 28のいずれか1項に記載の組成物。