【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3年12月23日(2021.12.23)

【公表番号】特表2021-506778(P2021-506778A)
【公表日】令和3年2月22日(2021.2.22)
【年通号数】公開・登録公報2021-009
【出願番号】特願2020-531978(P2020-531978)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ　39/395　(2006.01)
Ｃ０７Ｋ　16/28　(2006.01)
Ｃ０７Ｋ　16/46　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　21/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　37/02　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　29/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　43/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　48/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/436　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/52　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/42　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/519　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/365　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/454　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/4035　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/573　(2006.01)
Ｃ０７Ｄ　498/18　(2006.01)
Ｃ０７Ｄ　473/38　(2006.01)
Ｃ０７Ｄ　261/18　(2006.01)
Ｃ０７Ｄ　475/08　(2006.01)
Ｃ０７Ｄ　307/88　(2006.01)
Ｃ０７Ｄ　401/04　(2006.01)
Ｃ０７Ｄ　209/48　(2006.01)
Ｃ０７Ｊ　5/00　(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ　39/395　Ｎ
Ｃ０７Ｋ　16/28
Ｃ０７Ｋ　16/46
Ａ６１Ｋ　39/395　Ｄ
Ａ６１Ｐ　21/00
Ａ６１Ｐ　37/02
Ａ６１Ｐ　29/00
Ａ６１Ｐ　43/00　１０７
Ａ６１Ｐ　43/00　１１１
Ａ６１Ｋ　48/00
Ａ６１Ｐ　43/00　１２１
Ａ６１Ｋ　31/436
Ａ６１Ｋ　31/52
Ａ６１Ｋ　31/42
Ａ６１Ｋ　31/519
Ａ６１Ｋ　31/365

Ａ６１Ｋ　31/454
Ａ６１Ｋ　31/4035
Ａ６１Ｋ　31/573
Ｃ０７Ｄ　498/18
Ｃ０７Ｄ　473/38
Ｃ０７Ｄ　261/18
Ｃ０７Ｄ　475/08
Ｃ０７Ｄ　307/88
Ｃ０７Ｄ　401/04
Ｃ０７Ｄ　209/48
Ｃ０７Ｊ　5/00

【手続補正書】
【提出日】令和3年11月8日(2021.11.8)
【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】
免疫機能に関連していないがその欠損が炎症および／もしくは免疫反応に関連している遺伝子により引き起こされ、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（ＤＭＤ）、嚢胞性線維症、ライソゾーム病、およびα１－アンチトリプシン欠損症から選択される単一遺伝子疾患、ならびに／または、
免疫系に関与しておりその欠損が炎症および／もしくは自己免疫反応をもたらす遺伝子により引き起こされ、ＩＰＥＸ症候群、ＡＰＥＣＥＤ（自己免疫性多腺性内分泌不全症・カンジダ症・外胚葉ジストロフィー）、Ｂ細胞の原発性免疫不全、Ｍｕｃｋｌｅ－Ｗｅｌｌｓ症候群、混合型自己炎症性および自己免疫性症候群、ＮＬＲＰ１２関連の遺伝性周期性発熱症候群、および腫瘍壊死因子受容体１関連周期性症候群から選択される単一遺伝子疾患
を含む群から選択される単一遺伝子疾患の予防および／または処置のための、抗ＣＤ４５ＲＣ抗体を含む医薬組成物。
【請求項２】
前記抗ＣＤ４５ＲＣ抗体がモノクローナル抗体である、請求項１に記載の医薬組成物。
【請求項３】
前記抗ＣＤ４５ＲＣ抗体が抗ヒトＣＤ４５ＲＣモノクローナル抗体である、請求項１または２に記載の医薬組成物。
【請求項４】
前記抗ＣＤ４５ＲＣ抗体がキメラ抗体、二重特異性抗体、ヒト化抗体、または完全にヒトの抗体である、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】
単一遺伝子疾患の予防および／または処置が、前記単一遺伝子疾患に関連する症状または兆候の低減、軽減、緩和、および／または阻害を含む、請求項１～４のいずれか１項に記載の医薬組成物。
【請求項６】
単一遺伝子疾患の予防および／または処置が、自己免疫性および／または炎症性の症状または兆候の低減、軽減、緩和、および／または阻害を含む、請求項１～５のいずれか１項に記載の医薬組成物。
【請求項７】

前記単一遺伝子疾患に関連する症状または兆候が、体重減少、脱力、疲労、微熱、筋肉もしくは関節の疼痛、下痢、糖尿病、ホルモン変化、脱毛症、皮膚色素脱失、およびリンパ球浸潤物を伴う異なる組織の組織構造の悪化、を含む群から選択される、請求項５または６に記載の医薬組成物。

【請求項８】

前記単一遺伝子疾患に関連する症状または兆候が、ＣＤ４５ＲＣ$^{+}$細胞の頻度の増加、ＣＤ４５ＲＣ$^{-}$細胞の頻度の減少、ＣＤ４$^{+}$およびＣＤ８$^{+}$のＴエフェクター細胞の頻度の増加、ならびにＦｏｘＰ３$^{+}$　Ｔ$_{reg}$の減少を含む群から選択される、請求項５～７のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項９】

前記抗ＣＤ４５ＲＣ抗体が、Ｔ　ＣＤ４５ＲＣ^{high}細胞を枯渇させる、請求項１～８のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項１０】

前記抗ＣＤ４５ＲＣ抗体が、ＣＤＲ４５ＲＣに対する第１の抗原結合部位と、直接的な結合、抗体依存性細胞傷害（ＡＤＣＣ）、補体依存性細胞傷害（ＣＤＣ）、および／または抗体依存性貪食作用を介してＴ　ＣＤ４５ＲＣ^{high}細胞の枯渇を媒介できるエフェクター細胞に対する少なくとも１つの第２の抗原結合部位と、を含む多重特異性抗体である、請求項１～９のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項１１】

前記抗ＣＤ４５ＲＣ抗体が、細胞傷害性部分にコンジュゲートされている、請求項１～１０のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項１２】

免疫抑制薬および／または抗炎症薬と併用して投与される、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】

遺伝子療法または細胞療法と併用して投与される、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】

前記遺伝子療法または細胞療法が、前記医薬組成物の投与の前または後に行われる、請求項１３に記載の医薬組成物。

【請求項１５】

前記遺伝子療法または細胞療法が、前記医薬組成物の投与の前に行われる、請求項１３または１４に記載の医薬組成物。

【請求項１６】

前記単一遺伝子疾患が、ＤＭＤ、嚢胞性線維症、リソソーム蓄積症、およびα１－アンチトリプシン欠損症を含む群から選択される、請求項１～１５のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項１７】

前記単一遺伝子疾患がＤＭＤである、請求項１～１６のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項１８】

前記単一遺伝子疾患が、ＩＰＥＸ、ＡＰＥＣＥＤ、Ｂ細胞の原発性免疫不全、Ｍｕｃｋｌｅ－Ｗｅｌｌｓ症候群、混合型自己炎症性および自己免疫性症候群、ＮＬＲＰ１２関連の遺伝性周期性発熱症候群、ならびに腫瘍壊死因子受容体１関連周期性症候群を含む群から選択される、請求項１～１５のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項１９】

前記単一遺伝子疾患がＡＰＥＣＥＤである、請求項１～１５または１８のいずれか１項に記載の医薬組成物。

【請求項２０】

（ｉ）免疫機能に関連していないがその欠損が炎症および／もしくは免疫反応に関連し

ている遺伝子により引き起こされる、または（ｉｉ）免疫系に関与しておりその欠損が炎症および／もしくは自己免疫反応をもたらす遺伝子により引き起こされる、単一遺伝子疾患に関連する症状または兆候の低減、軽減、緩和、および／または阻害のための、抗ＣＤ４５ＲＣ抗体を含む医薬組成物。

【請求項２１】

前記単一遺伝子疾患に関連する症状または兆候が、体重減少、脱力、疲労、微熱、筋肉もしくは関節の疼痛、下痢、糖尿病、ホルモン変化、脱毛症、皮膚色素脱失、およびリンパ球浸潤物を伴う異なる組織の組織構造の悪化、を含む群から選択される、請求項２０に記載の医薬組成物。

【請求項２２】

前記単一遺伝子疾患に関連する症状または兆候が、ＣＤ４５ＲＣ$^{+}$細胞の頻度の増加、ＣＤ４５ＲＣ$^{-}$細胞の頻度の減少、ＣＤ４$^{+}$およびＣＤ８$^{+}$のＴエフェクター細胞の頻度の増加、ならびにＦｏｘＰ３$^{+}$　Ｔ$_{reg}$の減少を含む群から選択される、請求項２０または２１に記載の医薬組成物。