

【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1部門第1区分

【発行日】平成27年4月16日(2015.4.16)

【公表番号】特表2014-515595(P2014-515595A)

【公表日】平成26年7月3日(2014.7.3)

【年通号数】公開・登録公報2014-035

【出願番号】特願2013-556654(P2013-556654)

【国際特許分類】

|         |       |           |
|---------|-------|-----------|
| C 1 2 N | 15/09 | (2006.01) |
| C 0 7 K | 14/65 | (2006.01) |
| C 0 7 K | 19/00 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 9/24  | (2006.01) |
| C 1 2 N | 1/15  | (2006.01) |
| C 1 2 N | 1/19  | (2006.01) |
| C 1 2 N | 1/21  | (2006.01) |
| C 1 2 N | 5/10  | (2006.01) |
| C 0 7 K | 4/00  | (2006.01) |
| C 0 7 K | 7/08  | (2006.01) |
| C 0 7 K | 14/00 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 47/48 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 38/00 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 48/00 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 35/12 | (2015.01) |
| A 6 1 P | 25/00 | (2006.01) |

【F I】

|         |       |         |
|---------|-------|---------|
| C 1 2 N | 15/00 | Z N A A |
| C 0 7 K | 14/65 |         |
| C 0 7 K | 19/00 |         |
| C 1 2 N | 9/24  |         |
| C 1 2 N | 1/15  |         |
| C 1 2 N | 1/19  |         |
| C 1 2 N | 1/21  |         |
| C 1 2 N | 5/00  | 1 0 1   |
| C 0 7 K | 4/00  |         |
| C 0 7 K | 7/08  |         |
| C 0 7 K | 14/00 |         |
| A 6 1 K | 47/48 |         |
| A 6 1 K | 37/02 |         |
| A 6 1 K | 48/00 |         |
| A 6 1 K | 35/12 |         |
| A 6 1 P | 25/00 |         |

【手続補正書】

【提出日】平成27年2月26日(2015.2.26)

【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】**

- a ) 第 1 のペプチド、
- b ) 第 2 のペプチド、ならびに
- c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置された配列番号 1 のアミノ酸配列の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカーを含む、ポリペプチド組成物。

**【請求項 2】**

前記リンカーが、配列番号 1 の 3 つのシーケンシャルリピートを含む、請求項 1 に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 3】**

前記リンカーが、配列番号 1 の 3' 末端にアミノ酸配列グリシン - アラニン - プロリン (G A P) をさらに含む、請求項 1 または 2 に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 4】**

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、請求項 3 に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 5】**

前記第 1 のペプチドが、配列番号 4 のアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 6】**

前記第 2 のペプチドが、受容体結合ドメインを含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 7】**

前記第 2 のペプチドが、配列番号 6 のアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 8】**

- a ) 配列番号 4 のアミノ酸配列を含む第 1 のペプチド、
- b ) 配列番号 6 のアミノ酸配列を含む第 2 のペプチド、ならびに
- c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置された配列番号 1 のアミノ酸配列の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカーを含む、ポリペプチド組成物。

**【請求項 9】**

前記リンカーが、配列番号 1 の 3 つのシーケンシャルリピートを含む、請求項 8 に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 10】**

前記リンカーが、配列番号 1 の 3' 末端にアミノ酸配列グリシン - アラニン - プロリン (G A P) をさらに含む、請求項 8 または 9 に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 11】**

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、請求項 8 ~ 10 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 12】**

- a ) 配列番号 4 のアミノ酸配列を含む第 1 のペプチド、
- b ) 配列番号 6 のアミノ酸配列を含む第 2 のペプチド、ならびに
- c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置された配列番号 2 のアミノ酸配列を含むリンカーを含む、ポリペプチド組成物。

**【請求項 13】**

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、請求項 12 に記載のポリペプチド組成物。

**【請求項 14】**

18個連続したアミノ酸残基を含むポリペプチドリンカーであって、該リンカーが、該リンカーの最初の5個のアミノ酸残基内の1個のプロリン残基ならびに1個以上のグリシン残基および1個以上のアラニン残基からなる群から選択される17個のアミノ酸残基を含む、ポリペプチドリンカー。

## 【請求項 15】

前記リンカーの3'末端が、1個のプロリン残基ならびにグリシンおよびアラニンからなる群から選択される2つのアミノ酸残基を含む3個連続したアミノ酸をさらに含む、請求項14に記載のポリペプチドリンカー。

### 【請求項 16】

21個連続したアミノ酸残基を含むポリペプチドリンカーであって、該リンカーが、

a) 该リンカーの最初の5個のアミノ酸内の第1のプロリン残基、

b ) 1 個以上のグリシン残基および 1 個以上のアラニン残基からなる群から選択される 1 9 個のアミノ酸残基、ならびに

c) 該リンカーの最後の 5 個のアミノ酸内の第 2 のプロリン残基

を含む、ポリペプチドリンカー

### 【請求項 17】

前記 1 個以上のアラニン残基のいずれかが、1 個以上のセリン残基で置換されている、請求項 1.4 ~ 1.6 のいずれか一項に記載のポリペプチドリンカー。

### 【請求項 18】

前記リンカーが、アラニン残基の2倍の数のグリシン残基およびセリン残基を含む、請求項17に記載のポリペプチドリンカー。

### 【請求項 19】

配列番号 7 のアミノ酸配列 ( G G G G G A A A A A G G G G G ) からなるポリペプチドリソルブンカートン。

## 【請求項 20】

請求項 1 9 に記載のポリペプチドリンカーの 1 個以上のシーケンシャルリピートを含む、ポリペプチドリンカー組成物。

### 【請求項 21】

前記ポリペプチドリンカー組成物の5'末端が、1つのプロリン残基ならびにグリシンおよびアラニンからなる群から選択される2つのアミノ酸残基を含む3個連続したアミノ酸をさらに含む、請求項20に記載のポリペプチドリンカー組成物。

### 【請求項 22】

配列番号 1 のアミノ酸配列 ( G A P G G G G G A A A A A A G G G G G ) からなるポリペプチドリンカー。

### 【請求項 2 3】

請求項 2 2 に記載のポリペプチドリンカーの 1 個以上のシーケンシャルリピートを含む、ポリペプチドリンカー組成物。

### 【請求項 24】

前記ポリペプチドリンカー組成物の3'末端が、1つのプロリン残基ならびにグリシンおよびアラニンからなる群から選択される2つのアミノ酸残基を含む3個連続したアミノ酸をさらに含む、請求項21または23に記載のポリペプチドリンカー組成物。

### 【請求項 25】

前記 3 個連続したアミノ酸が、アミノ酸配列グリシン アラニン プロリン ( G A P ) を含む、請求項 2 1、2 3、または 2 4 に記載のポリペプチドリンカー組成物。

### 【請求項 26】

配列番号 2 のアミノ酸配列 ( G A P G G G G G A A A A A A G G G G G G A P G G G G G A A A A A G G G G G G A P G G G G G A A A A A G G G G G G A P G G G G G A A A A A G G G G G G A P ) からなるポリペプチドリンカー。

### 【請求項 27】

a) 第1のペプチド、

b ) 第 2 のペプチド、ならびに

c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置されたリンカー

を含み、該リンカーが、請求項 14 ~ 26 に記載のポリペプチドリンカーまたはポリペプチドリンカー組成物のいずれか 1 つを含む、ポリペプチド組成物。

【請求項 28】

a ) 配列番号 1、

b ) 配列番号 2、または

c ) 配列番号 1 に記載の 1 個以上のシーケンシャルリピート

のアミノ酸配列を含むポリペプチドリンカーをコードするポリヌクレオチド。

【請求項 29】

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されており、前記ポリヌクレオチドが、前記 1 個以上の置換されたセリン残基をコードする、請求項 28 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 30】

a ) 第 1 のペプチド、

b ) 第 2 のペプチド、ならびに

c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置される配列番号 1 のアミノ酸配列の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカー

のアミノ酸配列を含むポリペプチド組成物をコードするポリヌクレオチド。

【請求項 31】

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーが、配列番号 1 の 3 つのシーケンシャルリピートを含む、請求項 30 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 32】

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーの 3' 末端が、アミノ酸配列グリシン アラニン プロリン (GAP) をさらに含み、前記ポリヌクレオチドが、前記 GAP アミノ酸配列をコードする、請求項 30 または 31 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 33】

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーが、配列番号 2 を含む、請求項 31 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 34】

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されており、前記ポリヌクレオチドが、該 1 個以上の置換されたセリン残基をコードする、請求項 30 ~ 33 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 35】

前記ポリペプチド組成物の前記第 1 のペプチドが、配列番号 4 のアミノ酸配列を含む、請求項 30 ~ 34 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 36】

前記ポリペプチド組成物の前記第 2 のペプチドが、受容体結合ドメインを含む、請求項 30 ~ 35 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 37】

前記第 2 のペプチドが、配列番号 6 のアミノ酸配列を含む、請求項 28 ~ 36 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 38】

請求項 28 ~ 37 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む発現ベクター。

【請求項 39】

請求項 28 ~ 37 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む組換え細胞。

【請求項 40】

請求項 38 に記載の発現ベクターを含む組換え細胞。

【請求項 41】

請求項 1 ~ 7 または 27 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物および薬学的に許容

され得るキャリアを含む、医薬組成物。

【請求項 4 2】

請求項 8 ~ 13 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物を含む医薬組成物。

【請求項 4 3】

請求項 28 ~ 34 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドおよび薬学的に許容され得るキャリアを含む、医薬組成物。

【請求項 4 4】

請求項 35 ~ 37 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む医薬組成物。

【請求項 4 5】

請求項 39 または 40 に記載の組換え細胞および薬学的に許容され得るキャリアを含む医薬組成物。

【請求項 4 6】

ポリペプチド組成物を產生する方法であって、該ポリペプチドの発現に適した条件下で請求項 39 または 40 に記載の組換え細胞を培養することを含む、方法。

【請求項 4 7】

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達するための組成物であって、請求項 1 ~ 13 または請求項 27 に記載のポリペプチド組成物のいずれか 1 つを含む、組成物。

【請求項 4 8】

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達するための組成物であって、

- a ) 配列番号 4 のアミノ酸配列を含む第 1 のペプチド、
- b ) 配列番号 6 のアミノ酸配列を含む第 2 のペプチド、ならびに
- c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置される配列番号 1 のアミノ酸配列の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカーを含むポリペプチド組成物を含む、組成物。

【請求項 4 9】

前記リンカーが、配列番号 1 の 3' 末端にアミノ酸配列グリシン アラニン プロリン (G A P) をさらに含む、請求項 48 に記載の組成物。

【請求項 5 0】

前記リンカーが、配列番号 2 のアミノ酸配列を含む、請求項 48 に記載の組成物。

【請求項 5 1】

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、請求項 48 ~ 50 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 5 2】

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達するための組成物であって、請求項 38 に記載の 1 つ以上の発現ベクターを含む、組成物。

【請求項 5 3】

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達するための組成物であって、請求項 39 または 40 に記載の 1 つ以上の組換え細胞を含む、組成物。

【請求項 5 4】

リソソーム蓄積症を治療するための、請求項 41 ~ 45 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 5 5】

前記リソソーム蓄積症が、サンフィリポ症候群である、請求項 54 に記載の組成物。

【請求項 5 6】

サンフィリポ症候群を治療するための、請求項 42 ~ 45 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 5 7】

サンフィリポ症候群を治療するための医薬組成物であって、

- a ) 配列番号 4 のアミノ酸配列を含む第 1 のペプチド、
- b ) 配列番号 6 のアミノ酸配列を含む第 2 のペプチド、ならびに
- c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置された配列番号 1 のアミノ酸配列の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカーを含むポリペプチド組成物を含む、医薬組成物。

【請求項 5 8】

前記リンカーが、配列番号 1 の 3' 末端にアミノ酸配列グリシン アラニン プロリン (G A P) をさらに含む、請求項 5 7 に記載の組成物。

【請求項 5 9】

前記リンカーが、配列番号 2 のアミノ酸配列を含む、請求項 5 7 に記載の組成物。

【請求項 6 0】

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、請求項 5 4 ~ 5 9 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 6 1】

前記医薬組成物が、非経口的に投与されることを特徴とする、請求項 5 4 ~ 6 0 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 6 2】

前記医薬組成物が、経口的に投与されることを特徴とする、請求項 5 4 ~ 6 0 のいずれか一項に記載の組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 0 3 4

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 0 3 4】

この方法のある実施形態では、この医薬組成物が、非経口的に投与される。

特定の実施形態では、例えば以下が提供される：

(項目 1)

a ) 第 1 のペプチド、

b ) 第 2 のペプチド、ならびに

c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置された配列番号 1 のアミノ酸配列の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカーを含む、ポリペプチド組成物。

(項目 2)

前記リンカーが、配列番号 1 の 3 つのシーケンシャルリピートを含む、項目 1 に記載のポリペプチド組成物。

(項目 3)

前記リンカーが、配列番号 1 の 3' 末端にアミノ酸配列グリシン - アラニン - プロリン (G A P) をさらに含む、項目 1 または 2 に記載のポリペプチド組成物。

(項目 4)

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、項目 3 に記載のポリペプチド組成物。

(項目 5)

前記第 1 のペプチドが、配列番号 4 のアミノ酸配列を含む、項目 1 ~ 4 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物。

(項目 6)

前記第 2 のペプチドが、受容体結合ドメインを含む、項目 1 ~ 5 のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物。

(項目 7)

前記第 2 のペプチドが、配列番号 6 のアミノ酸配列を含む、項目 1 ~ 6 のいずれか一項に

記載のポリペプチド組成物。

(項目8)

- a ) 配列番号4のアミノ酸配列を含む第1のペプチド、
- b ) 配列番号6のアミノ酸配列を含む第2のペプチド、ならびに
- c ) 該第1のペプチドと該第2のペプチドとの間に配置された配列番号1のアミノ酸配列の1個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカーを含む、ポリペプチド組成物。

(項目9)

前記リンカーが、配列番号1の3つのシーケンシャルリピートを含む、項目8に記載のポリペプチド組成物。

(項目10)

前記リンカーが、配列番号1の3'末端にアミノ酸配列グリシン-アラニン-プロリン(GAP)をさらに含む、項目8または9に記載のポリペプチド組成物。

(項目11)

前記リンカーの1個以上のアラニン残基が、1個以上のセリン残基で置換されている、項目8~10のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物。

(項目12)

- a ) 配列番号4のアミノ酸配列を含む第1のペプチド、
- b ) 配列番号6のアミノ酸配列を含む第2のペプチド、ならびに
- c ) 該第1のペプチドと該第2のペプチドとの間に配置された配列番号2のアミノ酸配列を含むリンカーを含む、ポリペプチド組成物。

(項目13)

前記リンカーの1個以上のアラニン残基が、1個以上のセリン残基で置換されている、項目12に記載のポリペプチド組成物。

(項目14)

18個連続したアミノ酸残基を含むポリペプチドリンカーであって、該リンカーが、該リンカーの最初の5個のアミノ酸残基内の1個のプロリン残基ならびに1個以上のグリシン残基および1個以上のアラニン残基からなる群から選択される17個のアミノ酸残基を含む、ポリペプチドリンカー。

(項目15)

前記リンカーの3'末端が、1個のプロリン残基ならびにグリシンおよびアラニンからなる群から選択される2つのアミノ酸残基を含む3個連続したアミノ酸をさらに含む、項目14に記載のポリペプチドリンカー。

(項目16)

21個連続したアミノ酸残基を含むポリペプチドリンカーであって、該リンカーが、

- a ) 該リンカーの最初の5個のアミノ酸内の第1のプロリン残基、
- b ) 1個以上のグリシン残基および1個以上のアラニン残基からなる群から選択される19個のアミノ酸残基、ならびに
- c ) 該リンカーの最後の5個のアミノ酸内の第2のプロリン残基を含む、ポリペプチドリンカー。

(項目17)

前記1個以上のアラニン残基のいずれかが、1個以上のセリン残基で置換されている、項目14~16のいずれか一項に記載のポリペプチドリンカー。

(項目18)

前記リンカーが、アラニン残基の2倍の数のグリシン残基およびセリン残基を含む、項目17に記載のポリペプチドリンカー。

(項目19)

配列番号7のアミノ酸配列(GGGGGGAAAAAGGGGG)からなるポリペプチドリンカー。

(項目20)

項目19に記載のポリペプチドリンカーの1個以上のシーケンシャルリピートを含む、ポリペプチドリンカー組成物。

(項目21)

前記ポリペプチドリンカー組成物の5'末端が、1つのプロリン残基ならびにグリシンおよびアラニンからなる群から選択される2つのアミノ酸残基を含む3個連続したアミノ酸をさらに含む、項目20に記載のポリペプチドリンカー組成物。

(項目22)

配列番号1のアミノ酸配列(GAPGGGGAAAGGGGG)からなるポリペプチドリンカー。

(項目23)

項目22に記載のポリペプチドリンカーの1個以上のシーケンシャルリピートを含む、ポリペプチドリンカー組成物。

(項目24)

前記ポリペプチドリンカー組成物の3'末端が、1つのプロリン残基ならびにグリシンおよびアラニンからなる群から選択される2つのアミノ酸残基を含む3個連続したアミノ酸をさらに含む、項目21または23に記載のポリペプチドリンカー組成物。

(項目25)

前記3個連続したアミノ酸が、アミノ酸配列グリシン アラニン プロリン(GAP)を含む、項目21、23、または24に記載のポリペプチドリンカー組成物。

(項目26)

配列番号2のアミノ酸配列(GAPGGGGAAAGGGGGAGGGGGAPGGGGGAGGGGGAP)からなるポリペプチドリンカー。

(項目27)

a) 第1のペプチド、

b) 第2のペプチド、ならびに

c) 該第1のペプチドと該第2のペプチドとの間に配置されたリンカーを含み、該リンカーが、項目14～26に記載のポリペプチドリンカーまたはポリペプチドリンカー組成物のいずれか1つを含む、ポリペプチド組成物。

(項目28)

a) 配列番号1、

b) 配列番号2、または

c) 配列番号1に記載の1個以上のシーケンシャルリピート

のアミノ酸配列を含むポリペプチドリンカーをコードするポリヌクレオチド。

(項目29)

前記リンカーの1個以上のアラニン残基が、1個以上のセリン残基で置換されており、前記ポリヌクレオチドが、前記1個以上の置換されたセリン残基をコードする、項目23に記載のポリヌクレオチド。

(項目30)

a) 第1のペプチド、

b) 第2のペプチド、ならびに

c) 該第1のペプチドと該第2のペプチドとの間に配置される配列番号1のアミノ酸配列の1個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカーのアミノ酸配列を含むポリペプチド組成物をコードするポリヌクレオチド。

(項目31)

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーが、配列番号1の3つのシーケンシャルリピートを含む、項目30に記載のポリヌクレオチド。

(項目32)

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーの3'末端が、アミノ酸配列グリシン アラニン

プロリン (GAP) をさらに含み、前記ポリヌクレオチドが、前記GAPアミノ酸配列をコードする、項目30または31に記載のポリヌクレオチド。

(項目33)

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーが、配列番号2を含む、項目31に記載のポリヌクレオチド。

(項目34)

前記ポリペプチド組成物の前記リンカーの1個以上のアラニン残基が、1個以上のセリン残基で置換されており、前記ポリヌクレオチドが、該1個以上の置換されたセリン残基をコードする、項目30～33に記載のポリヌクレオチド。

(項目35)

前記ポリペプチド組成物の前記第1のペプチドが、配列番号4のアミノ酸配列を含む、項目30～34のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

(項目36)

前記ポリペプチド組成物の前記第2のペプチドが、受容体結合ドメインを含む、項目30～35のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

(項目37)

前記第2のペプチドが、配列番号6のアミノ酸配列を含む、項目28～36のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

(項目38)

項目28～37のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む発現ベクター。

(項目39)

項目28～37のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む組換え細胞。

(項目40)

項目38に記載の発現ベクターを含む組換え細胞。

(項目41)

項目1～7または27のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物および薬学的に許容され得るキャリアを含む、医薬組成物。

(項目42)

項目8～13のいずれか一項に記載のポリペプチド組成物を含む医薬組成物。

(項目43)

項目28～34のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドおよび薬学的に許容され得るキャリアを含む、医薬組成物。

(項目44)

項目35～37のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む医薬組成物。

(項目45)

項目39または40に記載の組換え細胞および薬学的に許容され得るキャリアを含む医薬組成物。

(項目46)

ポリペプチド組成物を產生する方法であって、該ポリペプチドの発現に適した条件下項目39または40に記載の組換え細胞を培養することを含む、方法。

(項目47)

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達する方法であって、項目1～13または項目27に記載のポリペプチド組成物のいずれか1つを該被験体に投与することを含む、方法。

(項目48)

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達する方法であって、

a) 配列番号4のアミノ酸配列を含む第1のペプチド、

b) 配列番号6のアミノ酸配列を含む第2のペプチド、ならびに

c) 該第1のペプチドと該第2のペプチドとの間に配置される配列番号1のアミノ酸配列

の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカー

を含むポリペプチド組成物を該被験体に投与することを含む、方法。

( 項目 49 )

前記リンカーが、配列番号 1 の 3' 末端にアミノ酸配列グリシン アラニン プロリン ( G A P ) をさらに含む、項目 48 に記載の方法。

( 項目 50 )

前記リンカーが、配列番号 2 のアミノ酸配列を含む、項目 48 に記載の方法。

( 項目 51 )

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、項目 48 ~ 50 のいずれか一項に記載の方法。

( 項目 52 )

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達する方法であって、項目 38 に記載の 1 つ以上の発現ベクターを該被験体に投与することを含む、方法。

( 項目 53 )

治療用ポリペプチドを送達する必要のある被験体に治療用ポリペプチドを送達する方法であって、項目 39 または 40 に記載の 1 つ以上の組換え細胞を該被験体に投与することを含む、方法。

( 項目 54 )

リソソーム蓄積症を治療する方法であって、その必要のある被験体に、有効量の、項目 41 ~ 45 に記載の医薬組成物のいずれか 1 つを投与することを含む、方法。

( 項目 55 )

前記リソソーム蓄積症が、サンフィリポ症候群である、項目 54 に記載の方法。

( 項目 56 )

サンフィリポ症候群を治療する方法であって、有効量の、項目 42 ~ 45 に記載の医薬組成物のいずれか 1 つをその必要のある患者に投与することを含む、方法。

( 項目 57 )

サンフィリポ症候群を治療する方法であって、その必要のある患者に対して、

a ) 配列番号 4 のアミノ酸配列を含む第 1 のペプチド、

b ) 配列番号 6 のアミノ酸配列を含む第 2 のペプチド、ならびに

c ) 該第 1 のペプチドと該第 2 のペプチドとの間に配置された配列番号 1 のアミノ酸配列の 1 個以上のシーケンシャルリピートを含むリンカー

を含むポリペプチド組成物を含む有効量の医薬組成物を投与することを含む、方法。

( 項目 58 )

前記リンカーが、配列番号 1 の 3' 末端にアミノ酸配列グリシン アラニン プロリン ( G A P ) をさらに含む、項目 57 に記載の方法。

( 項目 59 )

前記リンカーが、配列番号 2 のアミノ酸配列を含む、項目 57 に記載の方法。

( 項目 60 )

前記リンカーの 1 個以上のアラニン残基が、1 個以上のセリン残基で置換されている、項目 54 ~ 59 のいずれか一項に記載の方法。

( 項目 61 )

前記医薬組成物が、非経口的に投与される、項目 54 ~ 60 のいずれか一項に記載の方法。

( 項目 62 )

前記医薬組成物が、経口的に投与される、項目 54 ~ 60 のいずれか一項に記載の方法。