

【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 9 月 30 日 (2021.9.30)

【公表番号】特表 2020-535184 (P2020-535184A)

【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 2020-517843 (P2020-517843)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 39/395 (2006.01)

A 6 1 K 9/08 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 9/00 (2006.01)

A 6 1 K 47/54 (2017.01)

C 0 7 K 16/24 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 39/395 N

A 6 1 K 9/08

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 9/00

A 6 1 K 47/54

C 0 7 K 16/24 Z N A

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 8 月 13 日 (2021.8.13)

【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】

新生血管加齢黄斑変性症 (nAMD) と診断されたヒト対象を治療する方法において使用するための抗ヒト血管内皮増殖因子 (hVEGF) 抗体又はその抗 hVEGF 抗原結合断片をコードする発現ベクターであって、該方法が、該ヒト対象の眼の上脈絡膜腔に、該発現ベクターを投与することを含む、前記使用のための発現ベクター。

【請求項 2】

前記投与が前記発現ベクターを前記上脈絡膜腔に上脈絡膜薬物送達装置を用いて注射することによるものであり、任意に該上脈絡膜薬物送達装置がマイクロインジェクターである、請求項 1 記載の使用のための発現ベクター。

【請求項 3】

nAMD と診断されたヒト対象を治療する方法において使用するための抗 hVEGF 抗体又はその抗 hVEGF 抗原結合断片をコードする発現ベクターであって、該方法が該ヒト対象の眼の網膜下腔に、該ヒト対象の眼の上脈絡膜腔を経由して、該発現ベクターを投与することを含む、前記使用のための発現ベクター。

【請求項 4】

前記投与が、後極に向けて前記上脈絡膜腔に挿入し、これを貫通させ、後極で細い針により前記網膜下腔に注射することができるカテーテルを含む網膜下薬物送達装置の使用によるものであり；任意に該投与が、該網膜下薬物送達装置のカテーテルを該上脈絡膜腔に挿入し、これを貫通させることを含む、請求項3記載の使用のための発現ベクター。

【請求項5】

nAMDと診断されたヒト対象を治療する方法において使用するための抗hVEGF抗体又はその抗hVEGF抗原結合断片をコードする発現ベクターであって、該方法が該ヒト対象の眼の強膜の外表面に、該発現ベクターを投与することを含む、前記使用のための発現ベクター。

【請求項6】

前記投与が、その先端を挿入して、それを強膜表面に直接並置して保持することができるカニューレを含む強膜近傍薬物送達装置の使用によるものであり、任意に該投与が、該カニューレの先端を挿入して、それを該強膜表面に直接並置して保持することを含む、請求項5記載の使用のための発現ベクター。

【請求項7】

前記投与により前記抗hVEGF抗体又はその抗hVEGF抗原結合断片の治療有効量が前記ヒト対象の網膜に送達され、任意に該抗hVEGF抗体又はその抗hVEGF抗原結合断片の該治療有効量が：

- (i) 該ヒト対象のヒト網膜細胞；又は
 - (ii) 該ヒト対象のヒト視細胞、水平細胞、双極細胞、アマクリン細胞、網膜神経節細胞、及び/若しくは外境界膜の網膜色素上皮細胞によって産生され；
- さらに任意に、該ヒト視細胞が錐体細胞及び/若しくは桿体細胞であり、又は前記網膜神経節細胞が、ミジェット細胞、パラソル細胞、二層化細胞、巨大網膜神経節細胞、光感受性神経節細胞、及び/若しくはミュラーグリアである、請求項1～6のいずれか1項記載の使用のための発現ベクター。

【請求項8】

前記ヒト対象が

- (i) 20/20かつ 20/400；又は
- (ii) 20/63かつ 20/400

である最高矯正視力(BCVA)を有し、任意に

該BCVAが前記ヒト対象で治療されるべき眼のBCVAである、請求項1～7のいずれか一項記載の使用のための発現ベクター。

【請求項9】

前記抗hVEGF抗原結合断片が：

- (i) Fab；
- (ii) $F(ab')_2$ ；又は
- (iii) 単鎖可変ドメイン(scFv)

である、請求項1～8のいずれか一項記載の使用のための発現ベクター。

【請求項10】

前記抗hVEGF抗体又はその抗hVEGF抗原結合断片が：

- (i) 配列番号1又は配列番号3のアミノ酸配列を含む重鎖、及び配列番号2又は配列番号4のアミノ酸配列を含む軽鎖；又は
 - (ii) 配列番号14～16の軽鎖CDR1～3、及び配列番号17～19若しくは配列番号20、18、及び21の重鎖CDR1～3、
- を含む、請求項1～9のいずれか一項記載の使用のための発現ベクター。

【請求項11】

前記軽鎖CDR3の2番目のアミノ酸残基が、

- (a) 以下の化学修飾：酸化、アセチル化、脱アミド化、及びピログルタミル化(ピロGlu)のうちの1つ又は複数を保有せず；又は
- (b) アセチル化されていない、

請求項10(ii)記載の使用のための発現ベクター。

【請求項 1 2】

前記軽鎖CDR1の8番目及び11番目のアミノ酸残基が、各々、以下の化学修飾:酸化、アセチル化、脱アミド化、及びピログルタミル化(ピロGlu)のうちの1つ又は複数を保有し、任意に前記重鎖CDR1の最後のアミノ酸残基が、アセチル化されていない、請求項10(ii)又は11記載の使用のための発現ベクター。

【請求項 1 3】

前記抗hVEGF抗体又はその抗hVEGF抗原結合断片が、配列番号20の重鎖CDR1を含み、かつ該重鎖CDR1の最後のアミノ酸残基が、以下の化学修飾:酸化、アセチル化、脱アミド化、及びピログルタミル化(ピロGlu)のうちの1つ又は複数を保有しない、請求項10又は11記載の使用のための発現ベクター。

【請求項 1 4】

前記重鎖CDR1の9番目のアミノ酸残基が、以下の化学修飾:アセチル化、脱アミド化、及びピログルタミル化(ピロGlu)のうちの1つ又は複数を保有し、該重鎖CDR2の3番目のアミノ酸残基が以下の化学修飾:アセチル化、脱アミド化、及びピログルタミル化(ピロGlu)のうちの1つ又は複数を保有する、請求項12又は13記載の使用のための発現ベクター。

【請求項 1 5】

前記発現ベクターがAAVベクターであり、任意に該発現ベクターがAAV8ベクターである、請求項1～14のいずれか一項記載の使用のための発現ベクター。