

【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】平成28年2月18日(2016.2.18)

【公表番号】特表2015-509085(P2015-509085A)

【公表日】平成27年3月26日(2015.3.26)

【年通号数】公開・登録公報2015-020

【出願番号】特願2014-549632(P2014-549632)

【国際特許分類】

A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	47/44	(2006.01)
A 6 1 K	47/42	(2006.01)
A 6 1 K	47/34	(2006.01)
A 6 1 K	47/36	(2006.01)
A 6 1 K	47/24	(2006.01)
A 6 1 K	47/28	(2006.01)
A 6 1 K	51/00	(2006.01)
A 6 1 K	49/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/704	(2006.01)
A 6 1 K	31/407	(2006.01)
A 6 1 K	38/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
A 6 1 K	31/7105	(2006.01)
A 6 1 K	31/713	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	35/00	(2006.01)
A 6 1 P	35/04	(2006.01)
A 6 1 P	35/02	(2006.01)
A 6 1 P	29/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/10	(2006.01)
A 6 1 K	9/127	(2006.01)
C 0 7 K	16/28	(2006.01)
C 0 7 K	16/46	(2006.01)
C 1 2 N	15/113	(2010.01)
C 1 2 N	15/02	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	39/395	Z N A C
A 6 1 K	47/44	
A 6 1 K	47/42	
A 6 1 K	47/34	
A 6 1 K	47/36	
A 6 1 K	39/395	L
A 6 1 K	47/24	
A 6 1 K	47/28	
A 6 1 K	49/02	
A 6 1 K	49/00	A
A 6 1 K	49/00	C
A 6 1 K	31/704	
A 6 1 K	31/407	
A 6 1 K	37/02	

A 6 1 K	39/395	D
A 6 1 K	39/395	N
A 6 1 K	31/7088	
A 6 1 K	31/7105	
A 6 1 K	31/713	
A 6 1 P	43/00	1 0 5
A 6 1 P	35/00	
A 6 1 P	35/04	
A 6 1 P	35/02	
A 6 1 P	29/00	
A 6 1 P	9/10	1 0 1
A 6 1 K	9/127	
C 0 7 K	16/28	
C 0 7 K	16/46	
C 1 2 N	15/00	G
C 1 2 N	15/00	C

【手続補正書】

【提出日】平成27年12月24日(2015.12.24)

【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 ) 脂質ベースの担体部分と、 b ) E N D O 1 8 0 標的部分と、 c ) 有効量の治療剤もしくは診断剤またはそれらの組み合わせ、を含む、組成物であって、前記担体部分および前記標的部分は、共有結合される、組成物。

【請求項2】

前記担体部分および前記標的部分は、合成ポリマー、天然ポリマー、または半合成ポリマーによる前記担体部分の表面修飾を介して共有結合される、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記合成ポリマーは、P E G部分を含む、請求項2に記載の組成物。

【請求項4】

前記P E G部分は、N H S - P E G - D S P E [ 3 - ( N - スクシンイミジルオキシグルタリル ) アミノプロピル , ポリエチレングリコール - カルバミルジステアロイルホスファチジル - エタノールアミン ] を含む、請求項3に記載の組成物。

【請求項5】

前記天然ポリマーは、多糖またはグリコサミノグリカンを含む、請求項2に記載の組成物。

【請求項6】

前記グリコサミノグリカンは、ヒアルロン酸を含む、請求項5に記載の組成物。

【請求項7】

前記E N D O 1 8 0 標的部分は、細胞上に存在するE N D O 1 8 0 ポリペプチドの細胞外ドメインに結合し、前記E N D O 1 8 0 ポリペプチドによって前記細胞内に内部移行される、E N D O 1 8 0 結合タンパク質を含む、請求項1～6のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項8】

前記E N D O 1 8 0 結合タンパク質は、E N D O 1 8 0 に結合することができるE N D

0 1 8 0 抗体またはその機能的フラグメントを含む、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記 E N D O 1 8 0 抗体またはその機能的フラグメントは、

a . 受託番号 L M B P 7 2 0 3 C B で B C C M に寄託されたハイブリドーマ細胞系 E 3 - 8 D 8 によって生成される、単離モノクローナル抗体またはその抗原結合フラグメント、

b . ( a ) の抗体と同じエピトープに結合する抗体またはその抗原結合フラグメント、

c . ( a ) の抗体もしくはその抗原結合フラグメントのヒト化型、または ( b ) の抗体もしくはその抗原結合フラグメントのヒト化型、

d . ( a ) の抗体もしくはその抗原結合フラグメントのキメラ型、または ( b ) の抗体もしくはその抗原結合フラグメントのキメラ型、

e . 前記 E N D O 1 8 0 受容体によって細胞内に内部移行される、( a ) の抗体の抗原結合ドメインを含む組み換えポリペプチドまたはその抗原結合フラグメント、

f . 配列番号 6 に実質的に類似のポリペプチドを含む、抗体の抗原結合フラグメント、ならびに

g . 配列番号 7 および 8 に記載されるアミノ酸配列に実質的に類似のアミノ酸配列を有する C D R を含む、組み換えポリペプチドからなる群から選択される、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 10】

前記脂質ベースの担体部分は、脂質粒子を含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 11】

前記脂質粒子は、ホスファチジルコリンもしくはその誘導体、ホスファチジルグリセロールもしくはその誘導体、およびホスファチジルエタノールアミン ( P E ) もしくはその誘導体、またはそれらの組み合わせからなる群から選択される、1 つ以上の脂質を含む、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

前記脂質粒子は、1 つ以上の陽イオン性脂質 および / またはコレステロール をさらに含む、請求項 10 または 11 に記載の組成物。

【請求項 13】

前記脂質粒子は、ジオレオイルホスファチジルエタノールアミン ( D O P E ) およびコレステロールを含み、水素添加大豆ホスファチジルコリン ( H S P C ) をさらに含むことができる、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 14】

前記脂質粒子は、D O P E 、水素添加大豆ホスファチジルコリン ( H S P C ) 、コレステロール ( C h o l ) 、および P E G 部分 N H S - P E G - D S P E を、約 4 . 5 : 2 0 : 7 5 : 0 . 5 ( D O P E : H S P C : C h o l : N H S - P E G - D S P E ) のモル比で含む、または；前記脂質粒子は、ジオレオイルホスファチジルエタノールアミン ( D O P E ) 、1 , 2 - ジ - O - オクタデセニル - 3 - トリメチルアンモニウムプロパン ( D O T M A ) 、およびコレステロール ( C h o l ) を、約 4 : 2 : 1 ( D O P E : D O T M A : C h o l ) のモル比で含む、請求項 13 に記載の組成物。

【請求項 15】

前記脂質粒子は、D P P E およびコレステロールを含み、大豆 P C をさらに含むことができる、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 16】

前記脂質粒子は、大豆 P C 、D P P E 、およびコレステロールを、約 3 : 1 : 1 ( 大豆 P C : D P P E : コレステロール ) のモル比で含む、請求項 15 に記載の組成物。

【請求項 17】

前記脂質粒子は、直径が約 8 5 ~ 約 2 0 0 n M 、好ましくは約 8 5 ~ 約 1 3 0 n m である、および / または、前記脂質粒子は、約 ( - 7 ) ~ 約 ( - 4 0 ) のゼータ電位を含む、請求項 1 に記載の組成物。

**【請求項 18】**

前記治療剤は、アンチセンス化合物、化学修飾二本鎖RNA化合物、非修飾二本鎖RNA化合物、化学修飾s h RNA化合物、非修飾s h RNA化合物、化学修飾m i RNA化合物、および非修飾m i RNA化合物、化学修飾s i RNA、化学的非修飾s i RNA、およびリボザイム、またはそれらの組合せからなる群から選択される核酸である、請求項1に記載の組成物。

**【請求項 19】**

前記治療剤は、化学修飾s i RNA化合物および非修飾s i RNA化合物からなる群から選択されるd s RNA分子である、請求項18に記載の組成物。

**【請求項 20】**

増殖性障害を患う対象を治療するための、請求項1～19のいずれか1項に記載の組成物。