

【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 5 年 3 月 28 日(2023.3.28)

【国際公開番号】WO2020/197967  
【公表番号】特表 2022-525888(P2022-525888A)  
【公表日】令和 4 年 5 月 20 日(2022.5.20)  
【年通号数】公開公報(特許)2022-089  
【出願番号】特願 2021-555592(P2021-555592)  
【国際特許分類】

10

A 6 1 K 38/43(2006.01)  
A 6 1 K 48/00(2006.01)  
A 6 1 K 45/00(2006.01)  
A 6 1 K 35/76(2015.01)  
A 6 1 K 38/48(2006.01)  
A 6 1 K 38/47(2006.01)  
A 6 1 K 31/203(2006.01)  
A 6 1 K 31/192(2006.01)  
A 6 1 K 38/46(2006.01)  
A 6 1 K 35/761(2015.01)

20

【F I】

A 6 1 K 38/43  
A 6 1 K 48/00  
A 6 1 K 45/00  
A 6 1 K 35/76  
A 6 1 K 38/48  
A 6 1 K 38/48 1 0 0  
A 6 1 K 38/47  
A 6 1 K 31/203  
A 6 1 K 31/192  
A 6 1 K 38/46  
A 6 1 K 35/761

30

【手続補正書】  
【提出日】令和 5 年 3 月 17 日(2023.3.17)  
【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

40

【補正の内容】  
【特許請求の範囲】

【請求項 1】

リソソーム蓄積症の処置のための方法であって、それを必要とする対象に、リソソーム酵素をコードする治療的有効量の遺伝子を含む第 1 の組成物、および治療的有効量の薬剤を含む第 2 の組成物を投与することを含む、方法。

【請求項 2】

第 1 の組成物が鼻腔内投与される、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 3】

遺伝子が血液脳関門を通過して送達される、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 4】

50

第 1 の組成物が 7 ~ 30 日ごとに約 1 回投与される、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 5】

第 1 の組成物が、リソソーム酵素をコードする遺伝子を含むウイルスベクターを含む、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 6】

ウイルスベクターがアデノウイルス随伴ウイルスベクターである、請求項 5 に記載の方法。

【請求項 7】

遺伝子が、p p t 1、c l n 2、c l n 3、g a l e、または h e x a を含む、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 8】

リソソーム酵素が、パルミトイル - タンパク質チオエステラーゼ - 1、トリペプチジルペプチダーゼ 1、ガラクトシルセラミド、バッテニン、またはヘキササミニダーゼ A を含む、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 9】

薬剤が、桂皮酸、オレアミド、またはフィブラートを含む、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 10】

フィブラートが、ゲムフィブロジルまたはフェノフィブラートである、請求項 9 に記載の方法。

【請求項 11】

第 2 の組成物が、治療的有効量のオールトランスレチノイン酸をさらに含む、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 12】

薬剤の治療的有効量が、薬剤がオールトランスレチノイン酸と組み合わせて投与される場合、薬剤がオールトランスレチノイン酸を伴わずに送達される場合よりも少ない、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 13】

第 2 の組成物が経口投与される、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 14】

第 2 の組成物が 1 日に 1 回投与される、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 15】

第 1 の組成物および第 2 の組成物を投与すると、第 1 の組成物または第 2 の組成物を単独で投与する場合よりも、対象において優れた治療効果がもたらされる、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 16】

リソソーム蓄積症が、遅発乳児型バッテン病、若年型バッテン病、クラッペ病、テイ・サックス病、ニーマン・ピック病、ファブリー病、ファーバー病、およびゴーシェ病からなる群から選択される、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 17】

第 1 の組成物が鼻腔内投与され、第 2 の組成物が経口投与される、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 18】

第 1 の組成物の投与は、それを必要とする対象の寿命を約 100 日間増大させる、請求項 1 に記載の方法。

【請求項 19】

それを必要とする対象の寿命を少なくとも 100 日間増大させる、請求項 1 に記載の方法。

—

10

20

30

40