

【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】

A 61K 38/43(2006.01)

A 61K 48/00(2006.01)

A 61K 45/00(2006.01)

A 61K 35/76(2015.01)

A 61K 38/48(2006.01)

A 61K 38/47(2006.01)

A 61K 31/203(2006.01)

A 61K 31/192(2006.01)

A 61K 38/46(2006.01)

A 61K 35/761(2015.01)

10

20

【F I】

A 61K 38/43

A 61K 48/00

A 61K 45/00

A 61K 35/76

A 61K 38/48

A 61K 38/48 100

A 61K 38/47

A 61K 31/203

A 61K 31/192

A 61K 38/46

A 61K 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

【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】

40

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隨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、*pptl*、*cln2*、*cln3*、*gale*、または*hexa*を含む、請求項1に記載の方法。

10

【請求項8】

リソソーム酵素が、パルミトイール-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、またはヘキソサミニダーゼ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。

20

【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。

30

【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、クラッベ病、ティ・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。

40

【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

—

50