

【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】令和7年6月17日(2025.6.17)

【国際公開番号】WO2021/228052
 【公表番号】特表2023-526218(P2023-526218A)
 【公表日】令和5年6月21日(2023.6.21)
 【年通号数】公開公報(特許)2023-115
 【出願番号】特願2022-568638(P2022-568638)

【国際特許分類】

10

- C 1 2 N 15/62(2006.01)
- C 0 7 K 14/705(2006.01)
- C 0 7 K 16/00(2006.01)
- C 0 7 K 19/00(2006.01)
- C 0 7 K 14/765(2006.01)
- C 1 2 N 15/13(2006.01)
- C 1 2 N 15/63(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 1 2 P 21/02(2006.01)
- A 6 1 K 38/16(2006.01)
- A 6 1 P 37/06(2006.01)
- A 6 1 P 21/04(2006.01)
- A 6 1 K 48/00(2006.01)
- A 6 1 P 43/00(2006.01)
- A 6 1 K 39/395(2006.01)

20

【F I】

- C 1 2 N 15/62 Z
- C 0 7 K 14/705 Z N A
- C 0 7 K 16/00
- C 0 7 K 19/00
- C 0 7 K 14/765
- C 1 2 N 15/13
- C 1 2 N 15/63 Z
- C 1 2 N 1/15
- C 1 2 N 1/19
- C 1 2 N 1/21
- C 1 2 N 5/10
- C 1 2 P 21/02 Z
- A 6 1 K 38/16
- A 6 1 P 37/06
- A 6 1 P 21/04
- A 6 1 K 48/00
- A 6 1 P 43/00 1 0 5
- A 6 1 K 39/395 V

30

40

【誤訳訂正書】

【提出日】令和7年6月9日(2025.6.9)

50

【誤訳訂正 1】

【訂正対象書類名】特許請求の範囲

【訂正対象項目名】全文

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

下記 (i) ~ (iii) を含む融合タンパク質：

(i) CR1g細胞外ドメイン；

(ii) 因子H (FH)、CD55、CD59及びCR1からなる群から選択されるタンパク質又はその機能的断片を含む補体制御ドメイン；

及び、

(iii) IgG Fcドメイン及びヒト血清アルブミンからなる群から選択されるタンパク質又はその機能的断片を含む増強ドメイン。

【請求項 2】

前記CR1g細胞外ドメインが、配列番号6に示されるアミノ酸配列を含む、請求項1に記載の融合タンパク質。

【請求項 3】

前記CR1g細胞外ドメインのC末端が、前記補体制御ドメインのN末端に直接又は間接的に連結されているか、あるいは、前記CR1g細胞外ドメインのN末端が、前記補体制御ドメインのC末端に直接又は間接的に連結されている、請求項1又は2に記載の融合タンパク質。

【請求項 4】

前記補体制御ドメインのC末端が、前記増強ドメインのN末端に直接又は間接的に連結されているか、又は、前記CR1g細胞外ドメインのC末端が、前記増強ドメインのN末端に直接又は間接的に連結されている、請求項1~3のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 5】

前記間接的な連結が、リンカーによる連結を含む、請求項3又は4に記載の融合タンパク質。

【請求項 6】

前記リンカーが、配列番号44、46、48及び50のいずれか一に示されるアミノ酸配列を含む、請求項5に記載の融合タンパク質。

【請求項 7】

前記補体制御ドメインが、配列番号8、18、22、62及び64のいずれか一に示される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融合タンパク質。

【請求項 8】

前記増強ドメインがヒト血清アルブミンである、請求項1~7のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 9】

前記ヒト血清アルブミンが、配列番号12に示されるアミノ酸配列を含む、請求項1~8のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 10】

一本鎖構造である、請求項1~9のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 11】

前記CR1g細胞外ドメイン、前記補体制御ドメイン及び前記増強ドメインをN末端からC末端の順に含む、又は、前記補体制御ドメイン、前記CR1g細胞外ドメイン及び前記増強ドメインをN末端からC末端の順に含む、請求項1~10のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 12】

配列番号14に示されるアミノ酸配列を含む、請求項1~11のいずれか一項に記載の融

10

20

30

40

50

合タンパク質。

【請求項13】

前記増強ドメインが、IgG Fcドメインを含む、請求項1～7のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項14】

前記IgGが、ヒトIgG1及びヒトIgG4からなる群より選択されるタンパク質を含む、請求項1～13のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項15】

前記IgG Fcドメインが配列番号10、30、32及び34のいずれか一に記載のタンパク質を含む、請求項1～14のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

10

【請求項16】

第1ポリペプチド鎖及び第2ポリペプチド鎖を含み、

前記第1ポリペプチド鎖が、前記CRIg細胞外ドメイン、第1補体制御ドメイン及び第1IgG Fcドメインを含み、

前記第2ポリペプチド鎖が、前記CRIg細胞外ドメイン、第2補体制御ドメイン及び第2IgG Fcドメインを含む、

請求項13～14のいずれか一項に記載の融合タンパク質；

ここで、前記第1IgG Fcドメインと前記第2IgG Fcドメインは相互に作用して二量体を形成することができる。

【請求項17】

前記第1補体制御ドメイン及び前記第2補体制御ドメインの各々が、独立して、因子H(FH)、CD55、CD59及びCR1からなる群より選択されるタンパク質又はその機能的断片を含む、請求項16に記載の融合タンパク質。

20

【請求項18】

前記第1補体制御ドメインが、前記第2補体制御ドメインと同一である、請求項16又は17に記載の融合タンパク質。

【請求項19】

前記第1IgG Fcドメインが、前記第2IgG Fcドメインと同一である、請求項18に記載の融合タンパク質。

【請求項20】

前記第1IgG Fcドメイン及び前記第2IgG Fcドメインが、配列番号10及び30のいずれか一項に示されるアミノ酸配列を含む、請求項18又は19に記載の融合タンパク質。

30

【請求項21】

前記第1ポリペプチド鎖が、前記第2ポリペプチド鎖と同一である、請求項18～20のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項22】

前記第1ポリペプチド鎖及び/又は前記第2ポリペプチド鎖が、配列番号14、24、26、28、58、60、66及び68のいずれか一に示されるアミノ酸配列を含む、請求項18～21のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項23】

前記第1補体制御ドメインが、前記第2補体制御ドメインと異なる、請求項16又は17に記載の融合タンパク質。

40

【請求項24】

前記第1補体制御ドメイン及び前記第2補体制御ドメインの各々が、独立して、CD59及びCD55からなる群より選択されるタンパク質又はその機能的断片を含む、請求項23に記載の融合タンパク質。

【請求項25】

前記第1補体制御ドメイン及び前記第2補体制御ドメインの各々が、独立して、FH及びCD55からなる群より選択されるタンパク質又はその機能的断片を含む、請求項23又は24に記載の融合タンパク質。

50

【請求項 26】

前記第1IgG Fcドメインが、前記第2IgG Fcドメインと同一である、請求項23～25のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 27】

前記第1IgG Fcドメインが、前記第2IgG Fcドメインと異なる、請求項23～25のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 28】

前記第1IgG Fcドメインが、配列番号32及び34のいずれか一に示されるアミノ酸配列を含む、請求項27に記載の融合タンパク質。

【請求項 29】

前記第2IgG Fcドメインが、配列番号32及び34のいずれか一に示されるアミノ酸配列を含む、請求項27又は28に記載の融合タンパク質。

【請求項 30】

前記第1ポリペプチド鎖が、配列番号38、40及び42のいずれか一に示されるアミノ酸配列を含む、請求項27～29のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 31】

前記第2ポリペプチド鎖が、配列番号38、40及び42のいずれか一に示されるアミノ酸配列を含む、請求項27～30のいずれか一項に記載の融合タンパク質。

【請求項 32】

請求項22～31のいずれか一項に記載の融合タンパク質であって、

(1) 前記第1ポリペプチド鎖は配列番号38に示されるアミノ酸配列を含み、前記第2ポリペプチド鎖は配列番号40に示されるアミノ酸配列を含む；

あるいは

(2) 前記第1ポリペプチド鎖は配列番号38に示されるアミノ酸配列を含み、前記第2ポリペプチド鎖は配列番号42に示されるアミノ酸配列を含む、

融合タンパク質。

【請求項 33】

請求項1～32のいずれか一項に記載の融合タンパク質又はその断片をコードする1つ以上の単離核酸分子。

【請求項 34】

請求項33に記載の核酸分子を含むベクター。

【請求項 35】

請求項34に記載のベクターを含むか、又は請求項1～32のいずれか一項に記載の融合タンパク質を発現する細胞。

【請求項 36】

以下の工程を含む、請求項1～32のいずれか一項に記載の融合タンパク質を調製する方法：

請求項1～32のいずれか一項に記載の融合タンパク質の合成すること、及び/又は、

請求項1～32のいずれか一項に記載の融合タンパク質を発現する条件下で、請求項35に記載の細胞を培養すること。

【請求項 37】

請求項1～32のいずれか一項に記載の融合タンパク質、及び、任意に、薬学的に許容される担体を含む医薬組成物。

【請求項 38】

薬剤調製における、請求項1～32のいずれか一項に記載の融合タンパク質又は請求項36に記載の医薬組成物の使用であって、

前記薬剤は、補体活性化の標的阻害に関連する疾患を治療するために用いられる、前記使用。

【請求項 39】

前記疾患が自己免疫疾患を含む、請求項38に記載の使用。

10

20

30

40

50

【請求項 40】

前記疾患が自己免疫性重症筋無力症を含む、請求項38又は39に記載の使用。

【誤訳訂正 2】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0054

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0054】

一方、本願は、前記融合タンパク質、及び任意に薬学的に許容される担体を含む医薬組成物を提供する。

10

【誤訳訂正 3】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0076

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0076】

本願では、「薬学的に許容される担体」という用語は、一般に、採用される用量及び濃度において、それに曝露される細胞又は哺乳動物に対して無毒である薬学的に許容されるアジュバント、賦形剤又は安定化剤を含む。一般に、生理学的に許容される担体は、pH緩衝溶液である。生理学的に許容される担体の例としては、以下を含み得るが、これらには限定されない。リン酸塩、クエン酸塩、その他の有機酸などの緩衝剤；アスコルビン酸などの酸化防止剤；低分子量（約10残基未満）ポリペプチド、血清アルブミン、ゼラチン、免疫グロブリンなどのタンパク質；ポリビニルピロリドンなどの親水性高分子；グリシン、グルタミン、アスパラギン、アルギニン又はリジンなどのアミノ酸；単糖類、二糖類、及びグルコース、マンノース又はデキストリンを含むその他の炭水化物；EDTAなどのキレート剤；マンニトールやソルビトールなどの糖アルコール；ナトリウムなどの塩を形成する対イオン；及び/又はTWEEN（登録商標）、ポリエチレングリコール(PEG)及びPLURONICS（登録商標）などの非イオン性界面活性剤。

20

【誤訳訂正 4】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0177

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0177】

医薬組成物

一方、本願は、前記融合タンパク質、及び任意に薬学的に許容される担体を含む医薬組成物を提供する。薬学的に許容される担体とは、通常、医薬組成物又は製剤の調製に使用することができ、通常、安全で、毒性がなく、生物学的にもその他の点でも好ましくない担体でないものを意味する。使用される担体は、通常、ヒトなどの哺乳類への投与に適したものが用いられる。組成物の調製では、通常、有効成分は担体と混合され、担体によって希釈又は封入される。担体を希釈剤として使用する場合、固体、半固体、液体のいずれであってもよく、抗体の有効成分の媒介物、担体、媒体として機能するものであればよい。前記薬学的に許容される担体は、緩衝剤、酸化防止剤、防腐剤、低分子ペプチド、タンパク質、親水性ポリマー、アミノ酸、糖類、キレート剤、対イオン、金属錯体及び/又は非イオン性界面活性剤などを含んでいてもよい。

40