

【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 4 月 22 日 (2021.4.22)

【公表番号】特表 2020-511473 (P2020-511473A)

【公表日】令和 2 年 4 月 16 日 (2020.4.16)

【年通号数】公開・登録公報 2020-015

【出願番号】特願 2019-551284 (P2019-551284)

【国際特許分類】

A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/08	(2006.01)
A 6 1 P	25/14	(2006.01)
A 6 1 P	25/28	(2006.01)
A 6 1 P	21/02	(2006.01)
A 6 1 P	9/00	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 K	35/76	(2015.01)
A 6 1 K	31/5513	(2006.01)
A 6 1 K	31/55	(2006.01)
C 1 2 N	15/12	(2006.01)
C 1 2 N	15/85	(2006.01)
C 1 2 N	15/67	(2006.01)
C 1 2 N	15/70	(2006.01)
C 1 2 N	15/10	(2006.01)
C 1 2 N	7/01	(2006.01)
C 1 2 N	15/864	(2006.01)
C 1 2 N	15/65	(2006.01)
C 0 7 K	16/28	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	48/00	
A 6 1 P	25/08	Z N A
A 6 1 P	25/14	
A 6 1 P	25/28	
A 6 1 P	21/02	
A 6 1 P	9/00	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 K	45/00	
A 6 1 K	35/76	
A 6 1 K	31/5513	
A 6 1 K	31/55	
C 1 2 N	15/12	
C 1 2 N	15/85	Z
C 1 2 N	15/67	Z
C 1 2 N	15/70	Z
C 1 2 N	15/10	2 0 0 Z
C 1 2 N	7/01	
C 1 2 N	15/864	1 0 0 Z
C 1 2 N	15/65	Z
C 0 7 K	16/28	

【手続補正書】

【提出日】 令和3年3月15日 (2021.3.15)

【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】

それを必要とする患者における発作性疾患の治療において h M 4 D i を活性化する合成リガンドと組み合わせて投与される、標的部位への h M 4 D i の送達のための h M 4 D i をコードするアデノ随伴ウイルスベクターを含む医薬組成物であって、ここで、前記ベクターは、ヒト C a M K 2 A プロモーター、ウッドチャック肝炎ウイルスの転写後調節エレメント、およびウシ成長ホルモンポリアデニル化配列を含む、組成物。

【請求項 2】

ベクターが、2つの逆位末端反復配列、S V 4 0 複製起点、p U C 1 9 複製起点、およびアンピシリン耐性遺伝子を含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

ベクターが、p A M / h C a M K 2 A - h M 4 D (G i) - W P R E - B G H p A である、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

ベクターが、蛍光レポーター遺伝子を含む、請求項 1 から 3 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 5】

アデノ随伴ウイルスベクターが、A A V 1、A A V 2、A A V 4、A A V 5、A A V 7、A A V 8、または A A V 9 である、請求項 1 から 4 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 6】

アデノ随伴ウイルスベクターが、A A V R e c 3 である、請求項 1 から 4 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 7】

合成リガンドが、クロザピン N - オキシドである、請求項 1 から 6 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 8】

合成リガンドが、ペルラピンである、請求項 1 から 6 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 9】

ベクターが、患者の脳における標的部位に送達されるものである、請求項 1 から 8 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 10】

経口、頬側、舌下、経直腸、局所、鼻腔内、腔内、および非経口からなる群から選択される経路により投与される、請求項 1 から 9 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 11】

患者の頭蓋を通して標的部位に直接投与される、請求項 1 から 9 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 12】

合成リガンドが、経口、頬側、舌下、経直腸、局所、鼻腔内、腔内、および非経口からなる群から選択される経路により投与されるものである、請求項 1 から 11 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 13】

発作性疾患が、限局性皮質異形成、てんかん、全身性強直性間代性発作を伴うてんかん

、ミオクロニー欠伸てんかん、前頭葉てんかん、側頭葉てんかん、後頭葉てんかん、頭頂葉てんかん、ランドウ・クレフナー症候群、ラスムッセン症候群、ドラベ症候群、ドゥーゼ症候群、CDKL5障害、點頭てんかん（ウエスト症候群）、若年性ミオクローヌステんかん（JME）、ワクチン関連脳症、難治性小児期てんかん（ICE）、レノックス・ガストー症候群（LGS）、レット症候群、大田原症候群、CDKL5障害、小児欠伸てんかん、本態性振戦、急性頻回発作、良性ローランドてんかん、てんかん重積状態、難治性てんかん重積状態、超難治性てんかん重積状態（SRSE）、PCDH19小児てんかん、脳腫瘍誘発発作、過誤腫誘発発作、薬物離脱誘発発作、アルコール離脱誘発発作、増加した発作活動、および再発発作からなる群から選択される、請求項1から12のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項14】

発作性疾患が、焦点発作によって特徴付けられるものである、請求項1から13のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項15】

運動失調、歩行障害、発話障害、発声、不随意的な笑い、認知障害、運動能力の異常、臨床的発作、潜在性発作、低血圧、筋緊張亢進、流涎、おしゃべり行動、前兆、痙攣、繰り返し行動、異常感覚、発作の頻度、および発作の重症度からなる群から選択される少なくとも1つの症状を改善するための、請求項1から14のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項16】

ヒトCaMK2Aプロモーターの調節制御下のhM4Di、ウッドチャック転写後調節エレメント、およびウシ成長ホルモンポリアデニル化配列をコードする核酸を含む、ベクター。

【請求項17】

2つの逆位末端反復配列、SV40複製起点、pUC19複製起点、およびアンピシリン耐性遺伝子をさらに含む、請求項16に記載のベクター。

【請求項18】

前記ベクターが、pAM/hCaMK2A-hM4D(Gi)-WPRE-BGHpAである、請求項16に記載のベクター。