

【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4月25日(2023.4.25)

【国際公開番号】WO2020/214644
 【公表番号】特表2022-529262(P2022-529262A)
 【公表日】令和4年6月20日(2022.6.20)
 【年通号数】公開公報(特許)2022-110
 【出願番号】特願2021-560961(P2021-560961)
 【国際特許分類】

10

A 6 1 K 9/72(2006.01)

A 6 1 K 9/12(2006.01)

A 6 1 K 47/26(2006.01)

A 6 1 K 47/18(2017.01)

A 6 1 K 47/10(2017.01)

A 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 K 47/02(2006.01)

A 6 1 K 47/20(2006.01)

A 6 1 K 47/46(2006.01)

A 6 1 K 51/12(2006.01)

20

A 6 1 P 11/00(2006.01)

A 6 1 P 11/16(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 17/00(2006.01)

A 6 1 P 17/14(2006.01)

A 6 1 K 47/69(2017.01)

A 6 1 K 38/43(2006.01)

A 6 1 K 39/395(2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 9/72

30

A 6 1 K 9/12

A 6 1 K 47/26

A 6 1 K 47/18

A 6 1 K 47/10

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 47/02

A 6 1 K 47/20

A 6 1 K 47/46

A 6 1 K 51/12 2 0 0

A 6 1 K 51/12 1 0 0

40

A 6 1 P 11/00

A 6 1 P 11/16

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 17/00

A 6 1 P 17/14

A 6 1 K 47/69

A 6 1 K 38/43

A 6 1 K 39/395 D

A 6 1 K 39/395 N

50

【手続補正書】

【提出日】令和5年4月17日(2023.4.17)

【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】

呼吸器障害に罹患している対象を処置するための、治療有効量のミトコンドリアを含む組成物であって、

該組成物は対象に気道を経て投与され、かつ

該組成物がエアロゾル化組成物である、

上記組成物。

【請求項2】

組成物が、ネブライザー、気化器、鼻用スプレー、加圧定量噴霧器、又は呼吸起動型加圧定量噴霧器を使用することによって、対象への投与前にエアロゾル形態へと変換される、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

組成物のエアロゾル形態が、1～1000マイクロリットルの中央値のサイズを有する液滴を含む、請求項2に記載の組成物。

【請求項4】

組成物が、呼吸応答能のあるミトコンドリアを含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項5】

対象が、呼吸不全、呼吸機能低下、肺炎、肺がん、皺、脱毛症、及び/又はがんに罹患している、請求項1に記載の組成物。

【請求項6】

対象が、急性肺損傷に罹患している、請求項1に記載の組成物。

【請求項7】

組成物中のミトコンドリアの濃度が、約 $1 \times 10^5 \sim 5 \times 10^8 \text{ ml}^{-1}$ である、請求項1に記載の組成物。

【請求項8】

対象に、1回用量あたり約 $1 \times 10^5 \sim 1 \times 10^9$ 個のミトコンドリアが投与される、請求項1に記載の組成物。

【請求項9】

組成物が、7～8のpHを有する K^+ -HEPES、生理食塩水、リン酸緩衝生理食塩水(PBS)、血清、及び血漿からなる群から選択される溶液をさらに含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項10】

エアロゾル化組成物であって、

緩衝液を含む複数の液滴であって、複数の液滴中の少なくとも1つの液滴が、

少なくとも1つのミトコンドリアを含む、上記複数の液滴

を含む、上記エアロゾル化組成物。

【請求項11】

緩衝液が、7～8のpHを有する K^+ -HEPES、生理食塩水、リン酸緩衝生理食塩水(PBS)、血清、及び血漿からなる群から選択される、請求項10に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項12】

トレハロース、スクロース、マンノース、グリシン、プロリン、グリセロール、マンニトール、ソルビトール、ベタイン、及びサルコシンからなる群から選択される1つ以上の

オスモライトをさらに含む、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 1 3】

医薬品をさらに含む、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 1 4】

医薬として許容され得る希釈剤、賦形剤、又は担体をさらに含む、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 1 5】

組成物が、治療薬又は診断薬をさらに含み、治療薬又は診断薬が、共有結合によってミトコンドリアに連結されているか、ミトコンドリア内に包埋されているか、又はミトコンドリア内に内在化している、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。 10

【請求項 1 6】

ミトコンドリア薬が、共有結合によって前記ミトコンドリアに連結されている、請求項 1 5 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 1 7】

ミトコンドリア薬が、前記ミトコンドリア内に包埋されているか又は前記ミトコンドリア内に内在化している、請求項 1 5 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 1 8】

治療薬又は診断薬が、治療用診断薬である、
治療薬又は診断薬が、抗体又はその抗原結合断片を含み、
治療薬又は診断薬が、共有結合によってミトコンドリアに連結されている、或いは
治療薬又は診断薬が、ミトコンドリア内に包埋されているか又はミトコンドリア内に内在化している、請求項 1 5 に記載の組成物。 20

【請求項 1 9】

ミトコンドリア薬が、治療薬、化学療法薬、又は診断薬からなる群から選択される、或いは
ミトコンドリア薬が、抗体又は抗原結合断片を含む、
請求項 1 6 又は 1 7 に記載のエアロゾル化組成物。 30

【請求項 2 0】

複数の液滴が、1 ~ 1 0 0 0 マイクロリットルの中央値のサイズを有する、請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 2 1】

ミトコンドリアが、遺伝子改変されている、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 2 2】

ミトコンドリアが、外因性ポリペプチドを含む、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 2 3】

ミトコンドリアが、外因性ポリヌクレオチド、DNA、RNA、mRNA、マイクロRNA、核RNA、又はsiRNAを含む、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。 40

【請求項 2 4】

ミトコンドリアが、生存可能な呼吸応答能のあるミトコンドリアである、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 2 5】

対象への投与前のミトコンドリアが、酵素を含む組成物と共にインキュベートされる、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 2 6】

自家ミトコンドリア、同種ミトコンドリア、異種ミトコンドリア、又はそれらの混合物を含む、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

【請求項 2 7】

約 1×10^3 ~ 約 1×10^{14} 個、約 1×10^4 ~ 約 1×10^{13} 個、約 1×10^5 ~ 約 1×10^{12} 個、約 1×10^6 ~ 約 1×10^{11} 個、約 1×10^7 ~ 約 1×10^{10} 個、約 1×10^3 ~ 約 1×10^7 個、約 1×10^4 ~ 約 1×10^6 個、約 1×10^7 ~ 約 1×10^{14} 個、又は約 1×10^8 ~ 約 1×10^{13} 個、約 1×10^9 ~ 約 1×10^{12} 個、約 1×10^5 ~ 約 1×10^8 個、又は少なくとも若しくは約 1×10^3 個、 1×10^4 個、 1×10^5 個、 1×10^6 個、 1×10^7 個、 1×10^8 個、 1×10^9 個、 1×10^{10} 個、 1×10^{11} 個、 1×10^{12} 個、 1×10^{13} 個、又は少なくとも若しくは約 1×10^{14} 個のミトコンドリアを含む、請求項 1 に記載の組成物又は請求項 1 0 に記載のエアロゾル化組成物。

10

【請求項 2 8】

ミトコンドリアを対象に気道を経て送達するための装置であって、
 筐体と、
 ミトコンドリアを含む組成物のために筐体内に配備されたりザーバと、
 エアロゾル化形態の組成物を生成するためのエアロゾル発生器と、
 組成物がそれを経て対象の気道に送達される出口と、
 を備える、上記装置。

【請求項 2 9】

装置が、ネブライザー、鼻用スプレー、又は噴霧器である、請求項 2 8 に記載の装置。

20

【請求項 3 0】

エアロゾル発生器が、超音波ネブライザーである又は振動メッシュ装置である、請求項 2 8 に記載の装置。

【請求項 3 1】

エアロゾル発生器が、空気圧縮機を備え、該空気圧縮機が圧縮空気を組成物に流し、組成物をエアロゾル形態に変える、請求項 2 8 に記載の装置。

【請求項 3 2】

ミトコンドリアを対象に気道を経て送達するための装置であって、
 筐体と、
 筐体内に配備されたミトコンドリアを含む組成物と、
 組成物を筐体から対象の気道に送達し、組成物がそれを経て通過するにつれて組成物をエアロゾル化するよう構成された出口と、
 を備える、上記装置。

30

40

50