

【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】平成23年6月23日(2011.6.23)

【公表番号】特表2010-525806(P2010-525806A)

【公表日】平成22年7月29日(2010.7.29)

【年通号数】公開・登録公報2010-030

【出願番号】特願2010-505007(P2010-505007)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/09	(2006.01)
C 1 2 N	5/10	(2006.01)
C 1 2 N	9/40	(2006.01)
A 6 1 K	38/46	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	38/00	(2006.01)
A 6 1 P	19/08	(2006.01)
A 6 1 P	1/16	(2006.01)
A 6 1 P	7/00	(2006.01)
A 6 1 P	7/04	(2006.01)
A 6 1 P	7/06	(2006.01)
A 6 1 P	11/00	(2006.01)

【F I】

C 1 2 N	15/00	Z N A A
C 1 2 N	5/00	1 0 3
C 1 2 N	9/40	
A 6 1 K	37/54	
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 K	37/02	
A 6 1 P	43/00	1 0 5
A 6 1 P	19/08	
A 6 1 P	1/16	
A 6 1 P	7/00	
A 6 1 P	7/04	
A 6 1 P	7/06	
A 6 1 P	11/00	

【手続補正書】

【提出日】平成23年4月28日(2011.4.28)

【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】

質量分析によって決定されるように48.6kDaの分子量を有するヒト-ガラクトシダーゼタンパク質を含むポリペプチドであって、前記-ガラクトシダーゼタンパク質が、-ガラクトシダーゼ触媒活性を有し、かつC末端KDELアミノ酸配列に連続して連結されていることを特徴とするポリペプチド。

【請求項2】

前記タンパク質のC末端に位置するアミノ酸配列：S H I N P T G T V L L Q L E N T M Q M S L K をさらに含む、請求項1に記載のポリペプチド。

【請求項3】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、天然のヒト - ガラクトシダーゼのアミノ酸326と429の間で規定されるポリペプチドフラグメントに対して産生刺激されたウサギポリクローナル抗体と免疫学的に反応することができる、請求項1又は2に記載のポリペプチド。

【請求項4】

ヒト - ガラクトシダーゼタンパク質を含むポリペプチドであって、前記ポリペプチドが、前記タンパク質のC末端に位置するアミノ酸配列：S H I N P T G T V L L Q L E N T M Q M S L K を含み、前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、 - ガラクトシダーゼ触媒活性を有し、かつC末端K D E Lアミノ酸配列に連続して連結されていることを特徴とするポリペプチド。

【請求項5】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、質量分析によって決定されるように48.6kDaの分子量を有する、請求項4に記載のポリペプチド。

【請求項6】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、天然のヒト - ガラクトシダーゼのアミノ酸326と429の間で規定されるポリペプチドフラグメントに対して産生刺激されたウサギポリクローナル抗体と免疫学的に反応することができる、請求項4又は5に記載のポリペプチド。

【請求項7】

ヒト - ガラクトシダーゼタンパク質を含むポリペプチドであって、前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、天然のヒト - ガラクトシダーゼのアミノ酸326と429の間で規定されるポリペプチドフラグメントに対して産生刺激されたウサギポリクローナル抗体と免疫学的に反応することができ、前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、 - ガラクトシダーゼ触媒活性を有し、かつC末端K D E Lアミノ酸配列に連続して連結されていることを特徴とするポリペプチド。

【請求項8】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、質量分析によって決定されるように48.6kDaの分子量を有する、請求項7に記載のポリペプチド。

【請求項9】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、前記タンパク質のC末端に位置するアミノ酸配列：S H I N P T G T V L L Q L E N T M Q M S L K を含む、請求項7又は8に記載のポリペプチド。

【請求項10】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質が、少なくとも1つの露出したマンノース残基を含む、請求項1～9のいずれか一項に記載のポリペプチド。

【請求項11】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質は、少なくとも1つのキシロース残基をさらに含む、請求項10に記載のポリペプチド。

【請求項12】

前記 - ガラクトシダーゼタンパク質は、少なくとも1つのコア - (1, 2) キシロースおよび少なくとも1つのコア - (1, 3) フコースをさらに含む、請求項10に記載のポリペプチド。

【請求項13】

請求項1～12のいずれか一項に記載のポリペプチドを組換え產生する植物細胞。

【請求項14】

請求項1～12のいずれか一項に記載のポリペプチドおよび医薬的に許容されるキャリアを含む医薬組成物。

**【請求項 15】**

前記ヒト - ガラクトシダーゼタンパク質は、線維芽細胞への取り込みを有する、請求項 14 に記載の医薬組成物。

**【請求項 16】**

対象におけるファブリー病の治療のための医薬の製造のための請求項 14 又は 15 に記載の医薬組成物の使用。

**【請求項 17】**

C 末端の小胞体保持シグナルおよびN 末端のリンゴベクチナーゼ小胞体シグナルペプチドに連続して連結されるヒト - ガラクトシダーゼタンパク質をコードする単離された核酸配列。

**【請求項 18】**

前記小胞体シグナルペプチドは、配列番号 16 に記載されるものである、請求項 17 に記載の単離された核酸配列。

**【請求項 19】**

前記小胞体保持シグナルは、配列番号 23 ( K D E L ) に記載されるものである、請求項 17 又は 18 に記載の単離された核酸配列。

**【請求項 20】**

前記核酸配列は、配列番号 19 に記載されるものである、請求項 17 ~ 19 のいずれか一に記載の単離された核酸配列。

**【請求項 21】**

請求項 17 ~ 20 のいずれか一項に記載の単離された核酸を含む、植物細胞において発現することができる核酸構築物。

**【請求項 22】**

請求項 21 に記載の核酸構築物を含む細胞。

**【請求項 23】**

ヒト - ガラクトシダーゼ酵素を組換え產生する、請求項 22 に記載の細胞。

**【請求項 24】**

請求項 17 の核酸によってコードされるヒト - ガラクトシダーゼ酵素を組換え產生する、請求項 23 に記載の細胞。

**【請求項 25】**

前記組換え產生されたヒト - ガラクトシダーゼ酵素は、C 末端の小胞体保持シグナルに連続して連結される、請求項 23 に記載の細胞。

**【請求項 26】**

前記ヒト - ガラクトシダーゼタンパク質が、少なくとも 1 つの露出したマンノース残基を有するように組換え產生される、請求項 23 ~ 25 のいずれか一項に記載の細胞。

**【請求項 27】**

前記ヒト - ガラクトシダーゼタンパク質が、少なくとも 1 つのコア - ( 1 , 2 ) キシロース残基を有するように組換え產生される、請求項 23 ~ 26 のいずれか一項に記載の細胞。

**【請求項 28】**

前記ヒト - ガラクトシダーゼタンパク質が、少なくとも 1 つのコア - ( 1 , 3 ) フコース残基を有するように組換え產生される、請求項 23 ~ 27 のいずれか一項に記載の細胞。

**【請求項 29】**

前記細胞は、植物細胞である、請求項 22 ~ 28 のいずれか一項に記載の細胞。

**【請求項 30】**

前記植物細胞は、タバコ細胞である、請求項 29 に記載の細胞。

**【請求項 31】**

前記細胞は、アグロバクテリウム・ツメファシエンス細胞である、請求項 22 に記載の細胞。

**【請求項 3 2】**

請求項 1 3 , 2 9 又は 3 0 に記載の細胞および医薬的に許容されるキャリアを含む医薬組成物。

**【請求項 3 3】**

前記細胞が、凍結乾燥された細胞である、請求項 3 2 に記載の医薬組成物。

**【請求項 3 4】**

対象におけるファブリー病の治療のための医薬の製造のための請求項 3 2 又は 3 3 に記載の医薬組成物の使用。

**【請求項 3 5】**

組換えヒト - ガラクトシダーゼタンパク質を產生する方法であって、請求項 1 3 , 2 9 又は 3 0 に記載の細胞を準備すること；前記細胞を増殖させて前記組換えヒト - ガラクトシダーゼタンパク質を產生すること；及び前記組換えヒト - ガラクトシダーゼタンパク質を前記細胞から単離することを含む方法。

**【請求項 3 6】**

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼタンパク質を精製することをさらに含む、請求項 3 5 に記載の方法。

**【請求項 3 7】**

前記細胞は、タバコ植物中のタバコ細胞である、請求項 3 5 に記載の方法。

**【請求項 3 8】**

前記細胞は、培養物中のタバコ細胞である、請求項 3 5 に記載の方法。