

【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8月12日(2021.8.12)

【公表番号】特表2020-526553(P2020-526553A)  
 【公表日】令和2年8月31日(2020.8.31)  
 【年通号数】公開・登録公報2020-035  
 【出願番号】特願2020-501279(P2020-501279)  
 【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

C 1 2 Q 1/26 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 P 3/00

C 1 2 Q 1/26 Z N A

【手続補正書】

【提出日】令和3年7月5日(2021.7.5)

【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】

原発性高シュウ酸尿症1型(PH1)を有するヒト対象を処置するための組成物であって、前記対象の体重1kg当たり少なくとも2.0mg、少なくとも3.0mg、少なくとも4.0mg、又は少なくとも5.0mgのALN-GO1の用量を前記対象に四半期ごとに皮下投与し、これにより前記対象を処置することを含み、前記対象の尿中シュウ酸塩排泄が処置後に少なくとも50%減少し、且つ/又は前記対象の血漿中グリコール酸塩レベルが処置後少なくとも75日目まで増加し、維持され、且つ/又は前記対象のGO酵素が、処置前と比較して処置後に少なくとも90%阻害される、組成物。

【請求項2】

HAO1関連障害を有するヒト対象を処置するための組成物であって、有効量のALN-GO1を前記対象に投与し、これにより前記対象を処置することを含み、前記対象の尿中シュウ酸塩排泄が、処置後に少なくとも50%減少し、且つ/又は前記対象の血漿中グリコール酸塩レベルが、処置後少なくとも75日目まで増加し、維持され、且つ/又は前記対象のGO酵素が、処置前と比較して処置後に少なくとも90%阻害される、組成物。

【請求項3】

前記HAO1関連障害が原発性高シュウ酸尿症1型(PH1)である、請求項2に記載の組成物。

【請求項4】

ヒト対象における血漿中グリコール酸塩レベルを増加させ、且つ/又は尿中シュウ酸塩排泄を減少させ、且つ/又はGO酵素を阻害するための組成物であって、有効量のALN-GO1を前記対象に投与し、これにより前記対象における血漿中グリコール酸塩レベルを増加させ、且つ/又は尿中シュウ酸塩排泄を減少させ、且つ/又はGO酵素を阻害することを含む、組成物。

【請求項5】

前記ヒト対象がHAO1関連障害を有する、請求項4に記載の組成物。

**【請求項 6】**

前記 H A O 1 関連障害が、原発性高シュウ酸尿症 1 型 ( P H 1 ) である、請求項 5 に記載の組成物。

**【請求項 7】**

前記血漿中グリコール酸塩レベルが、

a . 投与後 2 0 ~ 4 0 日目まで、又は投与後 2 9 日目まで増加する ; 又は

b . 投与後 7 5 日目又は 8 5 日目又は 9 5 日目まで増加し、維持される、

請求項 4 ~ 6 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 8】**

前記対象の尿中シュウ酸塩排泄が、少なくとも 1 0 %、2 0 %、3 0 %、4 0 %、5 0 %、6 0 %、7 0 %、8 0 %、9 0 %、又は少なくとも 1 分の 1、2 分の 1、3 分の 1、4 分の 1、5 分の 1、6 分の 1、7 分の 1、8 分の 1、9 分の 1、若しくは 1 0 分の 1 に減少する、請求項 4 ~ 7 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 9】**

前記 G O 酵素が、少なくとも 1 0 %、2 0 %、3 0 %、4 0 %、5 0 %、6 0 %、7 0 %、8 0 %、9 0 %、又は少なくとも 1 倍、2 倍、3 倍、4 倍、5 倍、6 倍、7 倍、8 倍、9 倍、若しくは 1 0 倍阻害される、請求項 4 ~ 8 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 1 0】**

前記有効量が、

a . 約 0 . 0 1 m g の A L N - G O 1 / k g 体重 ~ 約 1 0 m g の A L N - G O 1 / k g 体重 ; 又は

b . 約 1 m g の A L N - G O 1 / k g 体重 ~ 約 1 0 m g の A L N - G O 1 / k g 体重 ; 又は

c . 0 . 3 m g の A L N - G O 1 / k g 体重、1 . 0 m g の A L N - G O 1 / k g 体重、3 . 0 m g の A L N - G O 1 / k g 体重 ; 又は

d . 少なくとも 2 . 0 m g の A L N - G O 1 / k g 体重、少なくとも 5 . 0 m g の A L N - G O 1 / k g 体重、若しくは少なくとも 6 . 0 m g の A L N - G O 1 / k g 体重である、請求項 2 ~ 9 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 1 1】**

前記 A L N - G O 1 が、1 か月に 3 回の投与で毎月、又は四半期に 2 回の投与で毎四半期に投与される、請求項 2 ~ 1 0 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 1 2】**

前記 A L N - G O 1 が、

a . 体重 1 k g 当たり少なくとも 2 . 0 m g の A L N - G O 1 の用量で毎月 ; 又は

b . 前記対象の体重 1 k g 当たり少なくとも 2 . 0 m g、少なくとも 3 . 0 m g、少なくとも 4 . 0 m g、又は少なくとも 5 . 0 m g の A L N - G O 1 の用量で四半期ごとに投与される、請求項 2 ~ 9 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 1 3】**

投与が皮下である、請求項 2 ~ 1 2 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 1 4】**

前記血漿中グリコール酸塩レベルが、少なくとも 1 0 %、2 0 %、3 0 %、4 0 %、5 0 %、6 0 %、7 0 %、8 0 %、9 0 %、又は少なくとも 1 倍、2 倍、3 倍、4 倍、5 倍、6 倍、7 倍、8 倍、9 倍、若しくは 1 0 倍増加する、請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 1 5】**

任意選択により質量分析に接続されたイオンクロマトグラフィーを使用して、前記対象の血漿中グリコール酸塩レベルを決定することをさらに含む、請求項 1 ~ 1 4 のいずれか一項に記載の組成物。

**【請求項 1 6】**

前記対象における尿中シュウ酸塩排泄を決定することをさらに含む、請求項 1 ~ 1 5 の

いずれか一項に記載の組成物。

【請求項 17】

前記対象における前記 G O 酵素阻害を決定することをさらに含む、請求項 1 ~ 16 のいずれか一項に記載の組成物。