

【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】平成17年12月22日(2005.12.22)

【公表番号】特表2004-532849(P2004-532849A)

【公表日】平成16年10月28日(2004.10.28)

【年通号数】公開・登録公報2004-042

【出願番号】特願2002-583620(P2002-583620)

【国際特許分類第7版】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 21/00

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 25/08

A 6 1 P 25/16

A 6 1 P 25/18

A 6 1 P 25/28

A 6 1 P 25/30

A 6 1 P 31/18

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 37/04

A 6 1 P 43/00

C 1 2 N 15/09

【F I】

A 6 1 K 48/00 Z N A

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 21/00

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 25/08

A 6 1 P 25/16

A 6 1 P 25/18

A 6 1 P 25/28

A 6 1 P 25/30

A 6 1 P 31/18

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 37/04

A 6 1 P 43/00 1 1 1

C 1 2 N 15/00 A

【手続補正書】

【提出日】平成17年4月7日(2005.4.7)

【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】

哺乳動物の中枢神経系にポリヌクレオチド薬剤を送達するための組成物であって、該組成物は、鼻腔の嗅覚領域または三叉神経によって神経支配される組織と接触され、そして、該薬剤を、該中枢神経系の該組織および細胞に送達されるように含有する、組成物。

【請求項 2】

前記嗅覚領域が、神経経路、上皮経路、リンパチャネル、脈管周囲チャネル、またはこれらの組合せを含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

前記組成物が、該組成物を前記鼻腔の 1 / 3 より上に投与することによって、前記哺乳動物の嗅覚領域に接触される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 4】

前記三叉神経によって神経支配される前記組織が、口腔組織、真皮組織または結膜からなる群から選択される鼻腔内組織または鼻腔外組織である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 5】

前記組成物と前記口腔組織との接触が、舌下投与で行われる、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 6】

前記ポリヌクレオチド薬剤が、骨髄、脳幹、中脳、小脳、嗅球、皮質構造、皮質下構造またはこれらの任意の組合せに送達される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 7】

前記ポリヌクレオチド薬剤が、ポリヌクレオチド、ポリヌクレオチドアナログ、ポリヌクレオチド模倣物、および生物学的に活性なペプチドまたはタンパク質を作動可能にコードするプラスミドからなる群から選択される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 8】

哺乳動物の中枢神経系にポリヌクレオチド薬剤を投与するための組成物であって、該組成物は、鼻腔の嗅覚領域または三叉神経によって神経支配される組織に投与され、かつ、該薬剤が該哺乳動物の該中枢神経系に輸送され、該中枢神経系の細胞に対して診断的、保護的または治療的な効果を提供するような該薬剤の有効量を含む、組成物。

【請求項 9】

前記嗅覚領域が、神経経路、上皮経路、リンパチャネル、脈管周囲チャネル、またはこれらの組合せを含む、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 10】

前記三叉神経によって神経支配される前記組織が、口腔組織、真皮組織または結膜からなる群から選択される鼻腔内組織または鼻腔外組織である、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 11】

前記ポリヌクレオチド薬剤が、ポリヌクレオチド、ポリヌクレオチドアナログ、ポリヌクレオチド模倣物、および生物学的に活性なペプチドまたはタンパク質を作動可能にコードするプラスミドからなる群から選択される、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 12】

前記ポリヌクレオチド薬剤が、神経学的状態、中枢神経系障害、精神障害またはこれらの組合せの処置に有効な量で前記哺乳動物の前記中枢神経系に輸送される、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 13】

前記ポリヌクレオチド薬剤が、ポリヌクレオチド、ポリヌクレオチドアナログ、ポリヌクレオチド模倣物、および生物学的に活性なペプチドまたはタンパク質を作動可能にコードするプラスミドからなる群から選択される、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 14】

前記状態または前記障害が、神経変性障害である、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 15】

前記神経変性障害が、パーキンソン病またはアルツハイマー病である、請求項 14 に記載の組成物。

**【請求項 16】**

請求項12に記載の組成物であって、前記状態または前記障害が、レーヴィ体痴呆、多発硬化症、てんかん、無口症(asnomia)、薬物嗜癖、小脳性運動失調、進行性核上麻痺、筋萎縮側索硬化症、情動障害、精神分裂病、脳卒中、脊髄卒中、髄膜炎、中枢神経系のHIV感染、脳腫瘍、脊髄腫瘍、プリオントン病、無嗅覚症、脳損傷、および脊髄損傷からなる群から選択される、組成物。

**【請求項 17】**

請求項16に記載の組成物であって、前記ポリヌクレオチド薬剤が、インスリン様増殖因子レセプターI(IGF-I R)、インスリン様増殖因子I(IGF-I)、インスリン様増殖因子II(IGF-II)、インスリン様増殖因子III(IGF-III)レセプター、アミロイド前駆体タンパク質、およびアヘン剤レセプターからなる群から選択されるポリペプチドをコードするmRNA転写産物の少なくとも10ヌクレオチドに相補的であるように設計されるアンチセンス薬剤である、組成物。

**【請求項 18】**

哺乳動物の中枢神経系障害の病状に寄与する標的タンパク質をコードするmRNAの翻訳を阻害するための組成物であって、該組成物は、該mRNAの領域に相補的な少なくとも1つのアンチセンス薬剤を含み、そして該組成物は、該哺乳動物の鼻腔の嗅覚領域または三叉神経によって神経支配される組織と接触され、これによって、該アンチセンス薬剤が、該mRNAを含む該中枢神経系の細胞に送達され、ここで、該アンチセンス薬剤が、標的のmRNAにハイブリダイズして翻訳を阻害する、組成物。

**【請求項 19】**

前記アンチセンス薬剤が、オリゴヌクレオチド、化学的に改変したオリゴヌクレオチド、およびペプチド核酸分子からなる群から選択される、請求項18に記載の組成物。

**【請求項 20】**

前記組成物が、前記鼻腔の1/3より上に該組成物を投与することによって、前記哺乳動物の嗅覚領域に接触される、請求項18に記載の組成物。

**【請求項 21】**

前記標的タンパク質が、インスリン様増殖因子レセプターI(IGF-I R)、インスリン様増殖因子I(IGF-I)、インスリン様増殖因子II(IGF-II)、インスリン様増殖因子III(IGF-III)レセプター、アミロイド前駆体タンパク質、およびアヘン剤レセプターからなる群から選択される、請求項18に記載の組成物。

**【請求項 22】**

前記三叉神経によって神経支配される前記組織が、口腔組織、真皮組織または結膜からなる群から選択される鼻腔内組織または鼻腔外組織である、請求項18に記載の組成物。

**【請求項 23】**

前記組成物と前記口腔組織との接触が、舌下投与で行われる、請求項22に記載の組成物。