

【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30年11月1日(2018.11.1)

【公表番号】特表2017-529397(P2017-529397A)

【公表日】平成29年10月5日(2017.10.5)

【年通号数】公開・登録公報2017-038

【出願番号】特願2017-535134(P2017-535134)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/28 (2006.01)

A 6 1 K 45/06 (2006.01)

A 6 1 K 31/436 (2006.01)

A 6 1 K 31/7016 (2006.01)

A 6 1 K 31/341 (2006.01)

A 6 1 K 31/451 (2006.01)

A 6 1 K 31/343 (2006.01)

A 6 1 K 31/5415 (2006.01)

A 6 1 K 31/506 (2006.01)

A 6 1 K 31/7076 (2006.01)

A 6 1 K 31/426 (2006.01)

A 6 1 K 31/438 (2006.01)

A 6 1 K 31/35 (2006.01)

A 6 1 K 31/454 (2006.01)

A 6 1 K 31/355 (2006.01)

A 6 1 K 31/385 (2006.01)

A 6 1 K 31/132 (2006.01)

A 6 1 K 31/05 (2006.01)

A 6 1 K 31/277 (2006.01)

A 6 1 K 31/138 (2006.01)

A 6 1 K 31/203 (2006.01)

A 6 1 K 31/192 (2006.01)

A 6 1 K 31/225 (2006.01)

A 6 1 K 31/198 (2006.01)

A 6 1 K 33/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

C 1 2 N 5/071 (2010.01)

【 F I 】

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 25/28

A 6 1 K 45/06

A 6 1 P 43/00 1 2 1

A 6 1 K 31/436

A 6 1 K 31/7016

A 6 1 K 31/341

A 6 1 K 31/451

A 6 1 K 31/343

A 6 1 K 31/5415
A 6 1 K 31/506
A 6 1 K 31/7076
A 6 1 K 31/426
A 6 1 K 31/438
A 6 1 K 31/35
A 6 1 K 31/454
A 6 1 K 31/355
A 6 1 K 31/385
A 6 1 K 31/132
A 6 1 K 31/05
A 6 1 K 31/277
A 6 1 K 31/138
A 6 1 K 31/203
A 6 1 K 31/192
A 6 1 K 31/225
A 6 1 K 31/198
A 6 1 K 33/00
A 6 1 P 25/00
C 1 2 N 5/071

【手続補正書】

【提出日】平成30年9月19日(2018.9.19)

【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】

特異的mTOR阻害剤を含んでなる、被験体におけるX-副腎白質ジストロフィー(X-ALD)の治療および/または予防のための医薬組成物。

【請求項2】

前記特異的mTOR阻害剤がラパマイシン誘導体である、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項3】

ラパマイシン誘導体がテムシロリムスである、請求項2に記載の医薬組成物。

【請求項4】

X-ALDが、副腎脊髄ニューロパチー(AMN)、大脳副腎脊髄ニューロパチー(cAMN)および小児副腎白質ジストロフィー(cALD)から選択される、請求項1または2に記載の医薬組成物。

【請求項5】

特異的mTOR阻害剤と、mTOR非依存性のオートファジー誘発剤、抗酸化剤、ミトコンドリアを標的とした抗酸化剤、ヒストン脱アセチル化酵素阻害剤、ミトコンドリア転移細孔開口の阻害剤、抗炎症剤、PPARアゴニスト、RXRアゴニスト、サーチュイン1アゴニストおよび抗高脂血症薬からなる群から選択される化合物とを含む組成物。

【請求項6】

前記特異的mTOR阻害剤がラパマイシン誘導体である、請求項5に記載の組成物。

【請求項7】

前記ラパマイシン誘導体がテムシロリムスである、請求項6に記載の組成物。

【請求項 8】

前記 mTOR 非依存性のオートファジー誘発剤が、トレハロース、ラニチジン、スベルミジン、レスベラトロール、ベラパミル、ロペラミド、アミオダロン、トリフロペラジン、ミノキシジル、2'5'-ジデオキシアデノシン、タモキシフェン、フマル酸ジメチル、チアゾリジンジオン、9-cis-レチノイン酸、ベキサロテン、フルスピリレン、トリフロペラジン、ペニトレム A、ピモジド、プロプラノロール、ビタミン E、 α -リポ酸、N-アセチルシステイン、リチウムおよびそれらの組み合わせからなる群から選択される、請求項 5 ~ 7 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 9】

被験体における X - 副腎白質ジストロフィー (X - ALD) の治療および / または予防に用いられる、請求項 5 ~ 8 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 10】

X - ALD が、副腎脊髄ニューロパチー (AMN)、大脳副腎脊髄ニューロパチー (cAMN) および小児副腎白質ジストロフィー (cALD) から選択される、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 11】

請求項 5 ~ 10 のいずれか一項に記載の組成物と、薬剂的に許容される賦形剤とを含んでなる、医薬組成物。

【請求項 12】

X - ALD の治療および / または予防に潜在的に有用な化合物を同定するための方法であって、

a) X - ALD 細胞と候補化合物を接触させること、および

b) 前記候補化合物の存在下で

(i) mTOR の活性レベル、および

(ii) オートファゴソームマーカーの発現レベル

からなる群から選択されるマーカーを分析することを含んでなり、

ここで前記候補化合物が、mTOR の活性を阻害する、および / またはオートファゴソームマーカーの発現を変化させる場合に、前記候補化合物は X - ALD の治療および / または予防に有用であるとする、方法。

【請求項 13】

X - ALD が、副腎脊髄ニューロパチー (AMN)、大脳副腎脊髄ニューロパチー (cAMN) および小児副腎白質ジストロフィー (cALD) から選択される、請求項 12 に記載の方法。

【請求項 14】

mTOR 活性が、リン酸化 p70S6K のレベルを測定することによって決定される、および / または、オートファゴソームマーカーが、LC3 - II、p62、またはそれらの組み合わせである、請求項 12 または 13 に記載の方法。