

【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 2 年 9 月 10 日 (2020.9.10)

【公開番号】特開 2020-15733 (P2020-15733A)

【公開日】令和 2 年 1 月 30 日 (2020.1.30)

【年通号数】公開・登録公報 2020-004

【出願番号】特願 2019-149672 (P2019-149672)

【国際特許分類】

C 0 7 K 14/71 (2006.01)

A 6 1 K 38/16 (2006.01)

A 6 1 P 19/08 (2006.01)

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

【F I】

C 0 7 K 14/71 Z N A

A 6 1 K 38/16

A 6 1 P 19/08

C 1 2 N 15/12

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 7 月 30 日 (2020.7.30)

【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】

対象における軟骨無形成症または軟骨低形成症の処置のための、野生型線維芽細胞増殖因子受容体 3 (F G F R 3) の細胞外領域の少なくとも 3 0 0 の連続するアミノ酸を含む可溶性 F G F R 3 (s F G F R 3) ポリペプチドを含む医薬組成物であって、ここで、該医薬組成物が皮下または静脈内投与用に製剤される、医薬組成物。

【請求項 2】

該 s F G F R 3 ポリペプチドが、野生型 F G F R 3 の膜貫通ドメインを含まない、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

対象に、1 日当たり体重 1 k g 当たり、0 . 0 0 0 2 m g から 2 0 m g の s F G F R 3 ポリペプチドを投与するために製剤される、請求項 1 または 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

対象に、1 日当たり体重 1 k g 当たり、0 . 0 0 1 m g から 7 m g の s F G F R 3 ポリペプチドを投与するために製剤される、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

s F G F R 3 ポリペプチドが、成長板の軟骨マトリックスに浸透して軟骨細胞に到達し得る、請求項 1 から 4 のいずれか一項記載の医薬組成物。

【請求項 6】

s F G F R 3 ポリペプチドが、対象に対して毒性がない、請求項 1 から 5 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

s F G F R 3 ポリペプチドが、異種ポリペプチドをさらに含む、請求項 1 から 6 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

異種ポリペプチドが F c 領域を含む、請求項 7 に記載の医薬組成物

【請求項 9】

F c 領域が、I g G 1、I g G 2 および I g G 3 からなる群より選択される免疫グロブリンの定常ドメインである、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

対象がヒトである、請求項 1 から 9 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

軟骨無形成症が、対象におけるリガンド依存性の過剰活性化を示す F G F R 3 変異体の発現により引き起こされる、請求項 1 から 10 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 12】

F G F R 3 変異体が、野生型 F G F R 3 のアミノ酸位置 380 のグリシン残基のアルギニン残基での置換 (G 380 R) を含む、請求項 11 に記載の医薬組成物。

【請求項 13】

対象における軟骨無形成症の処置のための、野生型 F G F R 3 の細胞外領域の少なくとも 300 の連続するアミノ酸を含む s F G F R 3 ポリペプチドを含む医薬組成物であって、ここで、該医薬組成物が皮下投与用に製剤される、医薬組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0097

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0097】

本発明はまた、治療的有効量の s F G F R 3 ポリペプチドまたはその機能的等価体および薬学的に許容される担体を含む医薬組成物を、それを必要とする対象に投与する工程を含む、骨格成長遅延障害の予防または処置のための方法を提供する。

本発明のさらなる態様を、以下に記載する：

【項 1】

骨格成長遅延障害の予防または処置における使用のための、単離された可溶性線維芽細胞増殖因子受容体 3 (s F G F R 3) ポリペプチドまたはその機能的等価体。

【項 2】

骨格成長遅延障害が特発性発育遅延障害である、項 1 に記載のポリペプチド。

【項 3】

骨格成長遅延障害が F G F R 3 関連骨系統疾患である、項 1 に記載のポリペプチド。

【項 4】

F G F R 3 関連骨系統疾患が、タナトフォリック骨異形成症 I 型、タナトフォリック骨異形成症 I I 型、発育遅延および黒色表皮症を伴う重度の軟骨無形成症、軟骨低形成症、軟骨無形成症および F G F R 3 関連頭蓋骨縫合早期癒合症、例えばミュエンク症候群 (Munke syndrome) および黒色表皮症を伴うクルーゾン症候群、からなる群より選択される、項 3 に記載のポリペプチド。

【項 5】

F G F R 3 関連骨系統疾患が軟骨無形成症である、項 4 に記載のポリペプチド。

【項 6】

F G F R 3 関連骨系統疾患が、対象における構成的に活性化された F G F R 3 受容体変異体の発現に起因する、項 3 ~ 5 のいずれか一項に記載のポリペプチド。

【項 7】

F G F R 3 関連骨系統疾患が軟骨無形成症であり、構成的に活性化された F G F R 3 受容体変異体が、380 位のグリシン残基がアルギニンで置換されている (すなわち、G 380 R である) 変異体である、項 6 に記載のポリペプチド。

【項 8】

ポリペプチドが、配列番号 1 で定義されるポリペプチド配列によりコードされる、項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載のポリペプチド。

[項 9]

ポリペプチドが、配列番号 2 で定義されるポリペプチド配列によりコードされる、項 8 に記載のポリペプチド。

[項 10]

単離された s F G F R 3 ポリペプチドまたはその機能的等価体および薬学的に許容される担体を含む、医薬組成物。

[項 11]

単離された s F G F R 3 ポリペプチドまたはその機能的等価体および薬学的に許容される担体を含む、骨格成長遅延障害の予防または処置における使用のための、医薬組成物。

[項 12]

治療的有效量の s F G F R 3 ポリペプチドまたはかかるポリペプチドを含む医薬組成物を、それを必要とする対象に投与する工程を含む、骨格成長遅延障害の予防または処置のための方法。