

【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 24 年 9 月 13 日 (2012.9.13)

【公表番号】特表 2010-540564 (P2010-540564A)
 【公表日】平成 22 年 12 月 24 日 (2010.12.24)
 【年通号数】公開・登録公報 2010-051
 【出願番号】特願 2010-527251 (P2010-527251)
 【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)
 A 6 1 K 48/00 (2006.01)
 A 6 1 P 27/02 (2006.01)
 A 6 1 P 27/06 (2006.01)
 A 6 1 P 27/04 (2006.01)
 A 6 1 P 27/14 (2006.01)
 C 1 2 N 15/113 (2010.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7105
 A 6 1 K 48/00
 A 6 1 P 27/02
 A 6 1 P 27/06
 A 6 1 P 27/04
 A 6 1 P 27/14
 C 1 2 N 15/00 G

【手続補正書】
 【提出日】平成 23 年 8 月 2 日 (2011.8.2)
 【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】

患者の眼における標的 m R N A の発現を低減させるための組成物であって、該組成物は、干渉 R N A 分子を含む自己相補的なアデノ随伴ウイルス (s c A A V) ベクターを含み、該干渉 R N A 分子は該眼における該標的 m R N A の発現を低減できる、組成物。

【請求項 2】

前記 s c A A V ベクターは s c A A V ビリオン中にパッケージングされる、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

眼内注射、眼への局所適用、静脈内注射、経口投与、筋内注射、腹腔内注射、経皮適用、または経粘膜適用によって投与されるものである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 4】

前記干渉 R N A 分子は、s i R N A、m i R N A、または s h R N A である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 5】

前記標的 m R N A は眼の障害に関連する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 6】

前記眼の障害は、眼の血管新生、ドライアイ、眼の炎症状態、高眼圧または緑内障に関

連する、請求項 5 に記載の組成物。

【請求項 7】

治療上有効な量の干渉 RNA 分子を有する自己相補的なアデノ随伴ウイルス (s c A A V) ベクター、および眼に許容できる担体を含む医薬組成物であって、該干渉 RNA 分子は眼の障害に関連する遺伝子の発現を低減できる、医薬組成物。

【請求項 8】

前記 s c A A V ベクターは s c A A V ビリオン中にパッケージングされる、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記干渉 RNA 分子は、s i R N A、m i R N A、または s h R N A である、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 10】

前記眼の障害は、眼の血管新生、ドライアイ、眼の炎症状態、高眼圧または緑内障に関連する、請求項 7 に記載の組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0014

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0014】

本発明はまた、以下の項目を提供する。

(項目 1)

患者の眼における標的 m R N A の発現を低減させる方法であって、

(a) 干渉 RNA 分子を含む自己相補的なアデノ随伴ウイルス (s c A A V) ベクターを与えるステップと；

(b) 該 s c A A V ベクターを該患者の眼に投与するステップと

を含み、該干渉 RNA 分子は該眼における該標的 m R N A の発現を低減できる、方法。

(項目 2)

上記 s c A A V ベクターは s c A A V ビリオン中にパッケージングされる、項目 1 に記載の方法。

(項目 3)

上記ベクターは、眼内注射、眼への局所適用、静脈内注射、経口投与、筋内注射、腹腔内注射、経皮適用、または経粘膜適用によって投与される、項目 1 に記載の方法。

(項目 4)

上記干渉 RNA 分子は、s i R N A、m i R N A、または s h R N A である、項目 1 に記載の方法。

(項目 5)

上記標的 m R N A は眼の障害に関連する、項目 1 に記載の方法。

(項目 6)

上記眼の障害は、眼の血管新生、ドライアイ、眼の炎症状態、高眼圧または緑内障に関連する、項目 5 に記載の方法。

(項目 7)

治療上有効な量の干渉 RNA 分子を有する自己相補的なアデノ随伴ウイルス (s c A A V) ベクターおよび眼に許容できる担体を含む医薬組成物であって、該干渉 RNA 分子は眼の障害に関連する遺伝子の発現を低減できる、医薬組成物。

(項目 8)

上記 s c A A V ベクターは s c A A V ビリオン中にパッケージングされる、項目 7 に記載の組成物。

(項目 9)

上記干渉 RNA 分子は、s i R N A、m i R N A、または s h R N A である、項目 7 に

記載の方法。

(項目 1 0)

上記眼の障害は、眼の血管新生、ドライアイ、眼の炎症状態、高眼圧または緑内障に関連する、項目 7 に記載の方法。

特定の好ましい実施形態の以下のより詳細な説明および本特許請求の範囲から、本発明の特定の好ましい実施形態が明らかになるであろう。