

【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mRNA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RNA分子を含む自己相補的なアデノ随伴ウイルス(scaAV)ベクターを含み、該干渉RNA分子は該眼における該標的mRNAの発現を低減できる、組成物。

【請求項2】

前記scaAVベクターはscaAV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RNA分子は、siRNA、miRNA、またはshRNAである、請求項1に記載の組成物。

【請求項5】

前記標的mRNAは眼の障害に関する、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 (scAAV) 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 scAAV ベクターは scAAV ピ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、 siRNA、miRNA、または shRNA 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 mRNA 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 (scAAV) ベクターを与えるステップと；

(b) 該 scAAV 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 mRNA の発現を低減できる、方法。

(項目 2)

上記 scAAV ベクターは scAAV ピ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、 siRNA、miRNA、または shRNA である、項目 1 に記載の方法。

(項目 5)

上記標的 mRNA 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 (scAAV) 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 scAAV ベクターは scAAV ピ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、 siRNA、miRNA、または shRNA である、項目 7 に

記載の方法。(項目10)

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。