

【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 3 年 2 月 12 日 (2021.2.12)

【公表番号】特表 2020-504131 (P2020-504131A)
 【公表日】令和 2 年 2 月 6 日 (2020.2.6)
 【年通号数】公開・登録公報 2020-005
 【出願番号】特願 2019-536488 (P2019-536488)
 【国際特許分類】

A 6 1 K 38/47 (2006.01)
 A 6 1 P 3/00 (2006.01)
 A 6 1 K 9/08 (2006.01)
 A 6 1 K 47/60 (2017.01)
 C 1 2 N 9/40 (2006.01)
 C 1 2 N 15/56 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 38/47
 A 6 1 P 3/00
 A 6 1 K 9/08
 A 6 1 K 47/60
 C 1 2 N 9/40 Z N A
 C 1 2 N 15/56

【手続補正書】
 【提出日】令和 2 年 12 月 25 日 (2020.12.25)

【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】

治療有効量の組換えヒト - ガラクトシダーゼを含む、ファブリー病の治療を必要とするヒト対象においてファブリー病を治療するための医薬組成物であって、前記組換えヒト - ガラクトシダーゼの前記治療有効量は 0.2 ~ 2.0 mg / kg であり、前記組換えヒト - ガラクトシダーゼの単量体は長さが 20 ~ 600 原子の連結部分を介して互いに共有結合しており、且つ前記組換えヒト - ガラクトシダーゼは 2 週間超の間隔で投与されるように処方されている、医薬組成物。

【請求項 2】

前記組成物は、2 週間超 ~ 4 週間毎の間隔で投与されるように処方されている、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼは、植物組換えヒト - ガラクトシダーゼである、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

前記植物組換えヒト - ガラクトシダーゼは、ビス - NHS - PEG₄₅ と架橋している、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

前記間隔は 3 週間 ~ 4 週間である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

前記間隔は、17日間～8週間、17日間～6週間、17日間～5週間、3週間～6週間、4週間～6週間、および4週間～5週間からなる群より選ばれる期間である、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項7】

前記投与は、3週間毎に1回、4週間毎に1回、5週間毎に1回、および6週間毎に1回からなる群より選ばれる間隔で行われる、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項8】

前記治療有効量の組換えヒト - ガラクトシダーゼは、前記対象においてG b 3及び/又はリゾG b 3を減少させる、請求項1～7のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項9】

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼは、静脈投与用に処方されている、請求項1～8のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項10】

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼは、投与量が1.0mg/kgまたは2.0mg/kgとなるように処方されている、請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項11】

前記治療有効量の組換えヒト - ガラクトシダーゼは、前記対象において、下記(i)～(vi)の少なくとも1種を達成可能である、請求項1～10のいずれか一項に記載の医薬組成物。

(i) 心臓パラメータLVM又はLVM Iの安定性の維持又はその悪化の軽減、

(ii) 血漿中G b 3濃度の低下、リゾ-G b 3濃度の低下、及び尿中G b 3濃度の低下から成る群から選択される少なくとも1種のパラメータの安定性の維持、

(iii) ファブリー病に関連する腎機能の悪化の軽減、

(iv) 腎機能の安定性の維持

(v) 少なくとも1種の胃腸パラメータの安定性の維持又はその悪化の軽減、および

(vi) マインツ重症度スコア指数(MSSI)の安定性の維持又はその悪化の軽減。

【請求項12】

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼは、投与後の循環半減期($T_{1/2}$)が少なくとも5時間、少なくとも20時間、および少なくとも50時間からなる群より選ばれる1種である、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項13】

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼを1mg/kg投与した後の C_{max} は、少なくとも5000ng/mLであり、任意で、前記組換えヒト - ガラクトシダーゼを2mg/kg投与した後の C_{max} は、少なくとも8000ng/mLである、請求項1～12のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項14】

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼを1.0mg/kg投与した後の生物学的利用能(AUC_{0-})は、少なくとも100,000ng×時/mLであり、任意で、前記組換えヒト - ガラクトシダーゼを2.0mg/kg投与した後の生物学的利用能(AUC_{0-})は、少なくとも400,000ng×時/mLである、請求項1～13のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項15】

ヒト対象への投与用に処方した、組換えヒト - ガラクトシダーゼを2.0～500mg含む単位剤形であって、前記組換えヒト - ガラクトシダーゼの単量体は、ポリアルキレングリコール連結部分を介して互いに共有結合している、単位剤形。

【請求項16】

前記ポリアルキレングリコール連結部分は、少なくとも20個のアルキレン基を含む、請求項15に記載の単位剤形。

【請求項17】

前記組換えヒト - ガラクトシダーゼは、ビス-NHS-PEG₄₋₅と架橋した植物組

換えヒト - ガラクトシダーゼである、請求項 1 5 または 1 6 に記載の単位剤形。

【請求項 1 8】

3 5 ~ 3 7 0 m g の植物組換えヒト - ガラクトシダーゼを含む、請求項 1 7 に記載の単位剤形。

【請求項 1 9】

3 5 m g の植物組換えヒト - ガラクトシダーゼを含む、請求項 1 7 に記載の単位剤形

。

【請求項 2 0】

4 0 m g の植物組換えヒト - ガラクトシダーゼを含む、請求項 1 7 に記載の単位剤形

。

【請求項 2 1】

5 0 または 1 0 0 m g の植物組換えヒト - ガラクトシダーゼを含む、請求項 1 7 に記載の単位剤形。