

【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20年4月17日(2008.4.17)

【公表番号】特表2003-525912(P2003-525912A)

【公表日】平成15年9月2日(2003.9.2)

【出願番号】特願2001-564801(P2001-564801)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 47/26 (2006.01)

A 6 1 K 47/30 (2006.01)

A 6 1 K 47/32 (2006.01)

A 6 1 K 47/34 (2006.01)

A 6 1 K 47/36 (2006.01)

A 6 1 K 38/27 (2006.01)

A 6 1 K 38/22 (2006.01)

A 6 1 K 38/00 (2006.01)

A 6 1 K 38/43 (2006.01)

A 6 1 K 38/21 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 47/26

A 6 1 K 47/30

A 6 1 K 47/32

A 6 1 K 47/34

A 6 1 K 47/36

A 6 1 K 37/36

A 6 1 K 37/24

A 6 1 K 37/02

A 6 1 K 37/465

A 6 1 K 37/66 Z

【手続補正書】

【提出日】平成20年2月27日(2008.2.27)

【手続補正 1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】特許請求の範囲

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】 細胞にタンパク質をコードする核酸__を送達するための製剤であって、該核酸、ならびにポリグルタミン酸、ポリアスパラギン酸、ポリガラクトロン酸、ポリビニル硫酸、グルタミン酸とアスパラギン酸とからなるコポリマー、およびそれらの塩からなる群より選択されるアニオン性ポリマーを含み、カチオン性ポリマーを含まない、アニオン性ポリマーが非封入性であり、細胞への該核酸の送達を該ポリマーのない該核酸の送達に比べて増進するものである製剤。

【請求項 2】 アニオン性__ポリマーがポリ-L-グルタミン酸、ポリアスパラギン酸、__およびそれらの塩からなる群より選択される、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 3】 アニオン性ポリマーが2,000～100,000ダルトンの分子量によって特徴づけられる、請求項 2 に記載の製剤。

【請求項 4】 アニオン性ポリマーが約15,000～約50,000ダルトンの分子量によって特徴づけられる、請求項 3 に記載の製剤。

【請求項 5】 アニオン性ポリマーが約2,000～約15,000ダルトンの分子量によって特徴づけられる、請求項 3 に記載の製剤。

【請求項 6】 アニオン性ポリマーが約50,000～約100,000ダルトンの分子量によって特徴づけられる、請求項 3 に記載の製剤。

【請求項 7】 アニオン性ポリマーが1～12mg/mlのアニオン性ポリマー濃度で核酸分子と共に製剤化される、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 8】 アニオン性ポリマーが約2～約6mg/mlのアニオン性ポリマー濃度で核酸分子と共に製剤化される、請求項 7 に記載の製剤。

【請求項 9】 等張性である請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 10】 アニオン性ポリマーが生体内で細胞への核酸の送達を増進する、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 11】 アニオン性ポリマーが生体内で筋組織中の細胞への核酸の送達を増進する、請求項 10 に記載の製剤。

【請求項 12】 アニオン性ポリマーが生体内で複数の細胞__への核酸の送達を増進する、請求項 10 に記載の製剤。

【請求項 13】 アニオン性ポリマーが液体貯蔵、凍結乾燥および凍結からなる群より選択される貯蔵条件の間に核酸に安定性を付与する、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 14】 核酸__が成長ホルモン、増殖因子、サイトカイン、凝固因子、抗原、および抗原因子__からなる群より選択されるタンパク質をコードする配列を含む、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 15】 サイトカインがインターフェロンである、請求項 14 に記載の製剤。

【請求項 16】 体内投与に適した緩衝液をさらに含む、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 17】 ポリグルタミン酸が濃度約6mg/mlのポリ-L-グルタミン酸またはその塩である、約150mMのNaClをさらに含む__請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 18】 核酸が約1mg/mlの濃度で製剤中に存在する、請求項 17 に記載の製剤。

【請求項 19】 濃度約5mM～約10mMのトリス緩衝液をさらに含む、請求項 17 または 18 に記載の製剤。

【請求項 20】 タンパク質をコードする核酸分子、ならびにポリグルタミン酸、ポリアスパラギン酸、ポリガラクトロン酸、ポリビニル硫酸、グルタミン酸とアスパラギン酸とからなるコポリマー、およびそれらの塩からなる群より選択されるアニオン性ポリマーを含み、カチオン性ポリマーを含まない凍結乾燥核酸製剤であって、アニオン性ポリマーが非封入性である製剤。

【請求項 21】 ポリグルタミン酸がポリ-L-グルタミン酸またはその塩である、請求項 20 に記載の製剤。

【請求項 22】 ポリ-L-グルタミン酸の塩がナトリウム塩であり、かつ凍結乾燥前に1～12mg/mlの濃度で製剤中に存在する、請求項 21 に記載の製剤。

【請求項 23】 ポリ-L-グルタミン酸のナトリウム塩が凍結乾燥前に約6mg/mlの濃度で製剤中に存在する、請求項 22 に記載の製剤。

【請求項 24】 該タンパク質が治療タンパク質を含む、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 25】 アニオン性ポリマーがポリ-L-グルタメートまたはその塩である、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 26】 核酸がサイトカインをコードする、請求項 1 に記載の製剤。

【請求項 27】 治療タンパク質の血中レベルを上昇させる医薬組成物であって、治療タンパク質をコードするベクター、ならびにポリグルタミン酸、ポリアスパラギン酸、ポリガラクトロン酸、ポリビニル硫酸、グルタミン酸とアスパラギン酸とからなるコポリマー、およびそれらの塩からなる群より選択されるアニオン性ポリマーを含み、カチオン

性ポリマーを含まない、アニオン性ポリマーが非封入性である医薬組成物。

【請求項 28】 アニオン性ポリマーが生体内エレクトロポレーションと協同してトランスフェクションを増進する、請求項 27 に記載の医薬組成物。

【請求項 29】 ポリグルタミン酸がポリ-L-グルタミン酸またはその塩である、請求項 28 に記載の医薬組成物。

【請求項 30】 治療タンパク質が凝固因子、増殖因子およびサイトカインからなる群より選択される、請求項 27 に記載の医薬組成物。

【請求項 31】 治療タンパク質が第IX因子、エリスロポイエチンおよびインターフェロン- からなる群より選択される、請求項 27 に記載の医薬組成物。

【請求項 32】 治療タンパク質の血中レベルを上昇させるための安定化された医薬組成物であって、治療タンパク質をコードする非ウイルスベクター、ならびにポリグルタミン酸、ポリアスパラギン酸、ポリガラクトロン酸、ポリビニル硫酸、グルタミン酸とアスパラギン酸とからなるコポリマー、およびそれらの塩からなる群より選択されるアニオン性ポリマーを含み、カチオン性ポリマーを含まない、アニオン性ポリマーが非封入性である医薬組成物。

【請求項 33】 アニオン性ポリマーがポリ-L-グルタメートまたはその塩である、請求項 32 に記載の安定化された医薬組成物。

【請求項 34】 凝固因子が第IX因子である、請求項 14 に記載の製剤。

【請求項 35】 増殖因子がエリスロポエチンである、請求項 14 に記載の製剤。