

【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1部門第1区分

【発行日】令和6年8月29日(2024.8.29)

【国際公開番号】WO2021/193731

【出願番号】特願2022-510604(P2022-510604)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/31(2006.01)

C 1 2 N 15/29(2006.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

C 1 2 N 5/10(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 38/16(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 27/02(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/31 Z N A

C 1 2 N 15/29

C 1 2 N 15/63 Z

C 1 2 N 5/10

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 38/16

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 27/02

20

【手続補正書】

【提出日】令和6年8月21日(2024.8.21)

【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

30

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

ボルボックス由来のチャンネルロドプシンが有する3つの細胞外ドメインのN末端側から数えて3つめの細胞外ドメインが、クラミドモナス・レインハルトチイ由来のチャンネルロドプシン-2の対応する細胞外ドメインに置換されてなるポリペプチドである改変チャンネルロドプシン。

【請求項2】

ボルボックス由来のチャンネルロドプシンが、配列番号1に示すアミノ酸配列の67~322番目のアミノ酸を少なくとも含んでなる請求項1記載の改変チャンネルロドプシン。

40

【請求項3】

配列番号1に示すアミノ酸配列の142~169番目のアミノ酸が、配列番号2に示すクラミドモナス・レインハルトチイ由来のチャンネルロドプシン-1のアミノ酸配列の143~170番目のアミノ酸に置換されてなる請求項2記載の改変チャンネルロドプシン。

【請求項4】

以下の(a)~(c)のいずれかである改変チャンネルロドプシン。

(a) 配列番号4に示すアミノ酸配列からなるポリペプチド

(b) 配列番号4に示すアミノ酸配列において、1個若しくは複数個のアミノ酸の欠失、置換、付加又は挿入を含むアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有する

50

ポリペプチド

(c) 配列番号 4 に示すアミノ酸配列と少なくとも 90% の配列同一性を有するアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

【請求項 5】

配列番号 8 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチドである請求項 4 記載の改変チャンネルロドプシン。

【請求項 6】

ボルボックス由来のチャンネルロドプシンが有する 7 つの膜貫通ドメインの N 末端側から数えて 6 つめの膜貫通ドメインが、クロモナス・オオガマ由来のチャンネルロドプシンの対応する膜貫通ドメインに置換されてなる請求項 1 ~ 3 のいずれかに記載の改変チャンネルロドプシン。

10

【請求項 7】

配列番号 1 に示すアミノ酸配列の 323 番目以降のアミノ酸が、配列番号 5 に示すクロモナス・オオガマ由来のチャンネルロドプシンのアミノ酸配列の 265 番目以降のアミノ酸に置換されてなる請求項 2 又は 3 記載の改変チャンネルロドプシン。

【請求項 8】

以下の (a) ~ (c) のいずれかである改変チャンネルロドプシン。

(a) 配列番号 6 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチド

(b) 配列番号 6 に示すアミノ酸配列において、1 個若しくは複数個のアミノ酸の欠失、置換、付加又は挿入を含むアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

20

(c) 配列番号 6 に示すアミノ酸配列と少なくとも 90% の配列同一性を有するアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

【請求項 9】

配列番号 6 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチドの 172 番目の His が他のアミノ酸に置換されてなるポリペプチドである請求項 8 記載の改変チャンネルロドプシン。

【請求項 10】

配列番号 9 ~ 12 のいずれかに示すアミノ酸配列からなるポリペプチドである請求項 9 記載の改変チャンネルロドプシン。

【請求項 11】

30

以下の (a) ~ (c) のいずれかである改変チャンネルロドプシン。

(a) 配列番号 7 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチド

(b) 配列番号 7 に示すアミノ酸配列において、1 個若しくは複数個のアミノ酸の欠失、置換、付加又は挿入を含むアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

(c) 配列番号 7 に示すアミノ酸配列と少なくとも 90% の配列同一性を有するアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

【請求項 12】

請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチドをコードするポリヌクレオチド。

【請求項 13】

40

プロモーターと機能的に連結された請求項 12 記載のポリヌクレオチドを含む発現ベクター。

【請求項 14】

請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチドを発現する細胞。

【請求項 15】

細胞が神経細胞である請求項 14 記載の細胞。

【請求項 16】

網膜外層の障害を患う被検体を治療するための医薬の製造における、請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチド、請求項 12 記載のポリヌクレオチド、請求項 13 記載の発現ベクターのいずれかの使用。

50

【請求項 17】

網膜外層の障害が、網膜色素変性症、加齢黄斑変性症、網膜はく離のいずれかである請求項 16 記載の使用。

【請求項 18】

請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチド又は請求項 13 記載の発現ベクターのいずれかを有効成分として含む網膜外層の障害を治療するための医薬組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0007

【補正方法】変更

10

【補正の内容】

【0007】

上記の知見に基づいてなされた本発明の改変チャンネルロドプシンは、請求項 1 記載の通り、ボルボックス由来のチャンネルロドプシンが有する 3 つの細胞外ドメインの N 末端側から数えて 3 つめの細胞外ドメインが、クラミドモナス・レインハルトチイ由来のチャンネルロドプシン - 2 の対応する細胞外ドメインに置換されてなるポリペプチドである。

また、請求項 2 記載の改変チャンネルロドプシンは、請求項 1 記載の改変チャンネルロドプシンにおいて、ボルボックス由来のチャンネルロドプシンが、配列番号 1 に示すアミノ酸配列の 67 ~ 322 番目のアミノ酸を少なくとも含んでなる。

また、請求項 3 記載の改変チャンネルロドプシンは、請求項 2 記載の改変チャンネルロドプシンにおいて、配列番号 1 に示すアミノ酸配列の 142 ~ 169 番目のアミノ酸が、配列番号 2 に示すクラミドモナス・レインハルトチイ由来のチャンネルロドプシン - 1 のアミノ酸配列の 143 ~ 170 番目のアミノ酸に置換されてなる。

20

また、請求項 4 記載の改変チャンネルロドプシンは、以下の (a) ~ (c) のいずれかである。

(a) 配列番号 4 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチド

(b) 配列番号 4 に示すアミノ酸配列において、1 個若しくは複数個のアミノ酸の欠失、置換、付加又は挿入を含むアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

(c) 配列番号 4 に示すアミノ酸配列と少なくとも 90% の配列同一性を有するアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

30

また、請求項 5 記載の改変チャンネルロドプシンは、請求項 4 記載の改変チャンネルロドプシンにおいて、配列番号 8 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチドである。

また、請求項 6 記載の改変チャンネルロドプシンは、請求項 1 ~ 3 のいずれかに記載の改変チャンネルロドプシンにおいて、ボルボックス由来のチャンネルロドプシンが有する 7 つの膜貫通ドメインの N 末端側から数えて 6 つめの膜貫通ドメインが、クロロモナス・オオガマ由来のチャンネルロドプシンの対応する膜貫通ドメインに置換されてなる。

また、請求項 7 記載の改変チャンネルロドプシンは、請求項 2 又は 3 記載の改変チャンネルロドプシンにおいて、配列番号 1 に示すアミノ酸配列の 323 番目以降のアミノ酸が、配列番号 5 に示すクロロモナス・オオガマ由来のチャンネルロドプシンのアミノ酸配列の 265 番目以降のアミノ酸に置換されてなる。

40

また、請求項 8 記載の改変チャンネルロドプシンは、以下の (a) ~ (c) のいずれかである。

(a) 配列番号 6 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチド

(b) 配列番号 6 に示すアミノ酸配列において、1 個若しくは複数個のアミノ酸の欠失、置換、付加又は挿入を含むアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

(c) 配列番号 6 に示すアミノ酸配列と少なくとも 90% の配列同一性を有するアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

また、請求項 9 記載の改変チャンネルロドプシンは、請求項 8 記載の改変チャンネルロドプ

50

シンにおいて、配列番号 6 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチドの 172 番目の His が他のアミノ酸に置換されてなるポリペプチドである。

また、請求項 10 記載の改変チャンネルロドプシンは、請求項 9 記載の改変チャンネルロドプシンにおいて、配列番号 9 ~ 12 のいずれかに示すアミノ酸配列からなるポリペプチドである。

また、請求項 11 記載の改変チャンネルロドプシンは、以下の (a) ~ (c) のいずれかである。

(a) 配列番号 7 に示すアミノ酸配列からなるポリペプチド

(b) 配列番号 7 に示すアミノ酸配列において、1 個若しくは複数個のアミノ酸の欠失、置換、付加又は挿入を含むアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

(c) 配列番号 7 に示すアミノ酸配列と少なくとも 90% の配列同一性を有するアミノ酸配列からなり、かつチャンネルロドプシン機能を有するポリペプチド

また、本発明のポリヌクレオチドは、請求項 12 記載の通り、請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチドをコードする。

また、本発明の発現ベクターは、請求項 13 記載の通り、プロモーターと機能的に連結された請求項 12 記載のポリヌクレオチドを含む。

また、本発明の細胞は、請求項 14 記載の通り、請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチドを発現する。

また、請求項 15 記載の細胞は、請求項 14 記載の細胞において、細胞が神経細胞である。

また、本発明は、請求項 16 記載の通り、網膜外層の障害を患う被検体を治療するための医薬の製造における、請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチド、請求項 12 記載のポリヌクレオチド、請求項 13 記載の発現ベクターのいずれかの使用である。

また、請求項 17 記載の使用は、請求項 16 記載の使用において、網膜外層の障害が、網膜色素変性症、加齢黄斑変性症、網膜はく離のいずれかである。

また、本発明の網膜外層の障害を治療するための医薬組成物は、請求項 18 記載の通り、請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリペプチド又は請求項 13 記載の発現ベクターのいずれかを有効成分として含む。

10

20

30

40

50