

【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】平成23年5月6日(2011.5.6)

【公表番号】特表2010-521973(P2010-521973A)

【公表日】平成22年7月1日(2010.7.1)

【年通号数】公開・登録公報2010-026

【出願番号】特願2009-554750(P2009-554750)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/113	(2010.01)
C 1 2 N	1/15	(2006.01)
C 1 2 N	1/19	(2006.01)
C 1 2 N	1/21	(2006.01)
C 1 2 N	5/10	(2006.01)

【F I】

C 1 2 N	15/00	Z N A G
C 1 2 N	1/15	
C 1 2 N	1/19	
C 1 2 N	1/21	
C 1 2 N	5/00	1 0 1

【手続補正書】

【提出日】平成23年3月17日(2011.3.17)

【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】

システムおよびループを形成するヌクレオチド配列を含むヌクレオチド構築物であって、ループが標的の発現を調節する第1のヌクレオチド配列を含み、システムが標的の発現を調節する第2のヌクレオチド配列を含み、第1のヌクレオチド配列により調節される標的と第2のヌクレオチド配列により調節される標的が同一であっても異なっていてもよいヌクレオチド構築物。

【請求項2】

標的の発現を調節する第2のヌクレオチド配列が、RNAi経路を通じて標的の発現を調節する、請求項1に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項3】

標的の発現を調節する第1のヌクレオチド配列が、発現のアンチセンス調節を介して前記標的の発現を調節する、請求項1に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項4】

プロモーターに作動可能に連結された対象の遺伝子をさらに含み、ループが標的の発現を調節するヌクレオチド配列を含んでも含まなくてもよい、請求項1に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項5】

プロモーターに作動可能に連結された対象の遺伝子がループ内に位置している、請求項4に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項6】

ループ中に1つまたは複数のスライス部位をさらに含む、請求項1に記載のヌクレオ

チド構築物。

【請求項 7】

ループが、標的の発現を調節する 2 つ以上のヌクレオチド配列を含有する、請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 8】

標的の発現を調節する各ヌクレオチド配列が、同一標的の発現を調節してもよく、異なる標的の発現を調節してもよい、請求項 7 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 9】

ステムが、標的の発現を調節する 2 つ以上のヌクレオチド配列を含有する、請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 10】

標的の発現を調節する各ヌクレオチド配列が、同一標的の発現を調節してもよく、異なる標的の発現を調節してもよい、請求項 9 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 11】

ステムが、1 つまたは複数の標的の発現を調節する 1 つまたは複数のヌクレオチド配列を含有し、ループが、1 つまたは複数の標的の発現を調節する 1 つまたは複数のヌクレオチド配列を含有する、請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 12】

ヌクレオチド配列が PNA を含む、請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 13】

PNA が、N-(2-アミノエチル)グリシン PNA、シクロヘキシリル PNA、レトロ-インペルソ PNA、ホスホン PNA、プロピニル PNA、およびアミノプロリン PNA からなる群から選択される、請求項 12 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 14】

ヌクレオチド配列が、Fmoc および / または tBoc プロセスにより合成される、請求項 12 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 15】

ヌクレオチド配列が合成塩基を含む、請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 16】

合成塩基が、2'-O-メチル、モルフォリノ、ホスホチオエート、および閉じ込め塩基からなる群から選択される、請求項 15 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 17】

ヌクレオチド配列が改変された糖を含む、請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 18】

改変された糖が、2'-O-メチルリボース、2'-O-アルキルリボース、および 2'-O-アリルリボースからなる群から選択される、請求項 17 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 19】

標的が、遺伝子、オリゴヌクレオチド配列、および / またはタンパク質である、請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物。

【請求項 20】

プロモーターに作動可能に連結された請求項 1 に記載のヌクレオチド構築物を含むベクター。

【請求項 21】

プロモーターが、ウイルスプロモーター、レトロウイルスプロモーター、哺乳動物プロモーター、植物プロモーター、細菌プロモーター、構成的プロモーター、調節性プロモーター、真菌プロモーター、酵母プロモーター、および昆虫プロモーターからなる群から選択される、請求項 20 に記載のベクター。

【請求項 22】

植物プロモーターが、アラビドプシス、ヒマワリ、ワタ、ナタネ、トウモロコシ、コム

ギ、トウゴマ、ヤシ、タバコ、ピーナッツ、モロコシ、サトウキビ、およびダイズにおいて同定されるプロモーターからなる群から選択される、請求項21に記載のベクター。

【請求項23】

ベクターが、プラスミド、コスミド、レトロウイルスベクター、アグロバクテリウム、ウイルスベクター、細菌ベクター、酵母ベクター、真核生物ベクター、植物ベクター、および哺乳動物ベクターからなる群から選択される、請求項20に記載のベクター。

【請求項24】

プロモーターに作動可能に連結された請求項1に記載のヌクレオチド構築物のゲノムへの組込みを促進する配列をさらに含む、請求項20に記載のベクター。

【請求項25】

標的の発現を調節する方法であって、
請求項1に記載のヌクレオチド構築物を細胞に提供すること、および
前記細胞を培養することを含む方法。

【請求項26】

細胞が、原核生物、真核生物、細菌、アグロバクテリウム、酵母、植物、哺乳動物、およびヒトの細胞からなる群から選択される、請求項25に記載の方法。

【請求項27】

植物細胞が、アラビドプシス、ヒマワリ、ワタ、ナタネ、トウモロコシ、コムギ、トウゴマ、ヤシ、タバコ、ピーナッツ、モロコシ、サトウキビ、およびダイズの細胞において同定されるプロモーターからなる群から選択される、請求項26に記載の方法。

【請求項28】

標的が、遺伝子、オリゴヌクレオチド配列、および／またはタンパク質である、請求項25に記載の方法。

【請求項29】

標的の発現を調節する方法であって、
請求項20に記載のベクターを含むベクターを細胞に提供すること、および
前記細胞中の前記ベクターから請求項1に記載のヌクレオチド構築物を発現することを含む方法。

【請求項30】

標的が、遺伝子、オリゴヌクレオチド配列、および／またはタンパク質である、請求項29に記載の方法。

【請求項31】

細胞が、原核生物、真核生物、細菌、アグロバクテリウム、酵母、植物、哺乳動物、およびヒトの細胞からなる群から選択される、請求項29に記載の方法。

【請求項32】

植物細胞が、アラビドプシス、ヒマワリ、ワタ、ナタネ、トウモロコシ、コムギ、トウゴマ、ヤシ、タバコ、ピーナッツ、モロコシ、サトウキビ、およびダイズの細胞からなる群から選択される、請求項31に記載の方法。

【請求項33】

請求項1に記載のヌクレオチド構築物ならびに薬学的に許容できる担体、希釈剤、および／またはアジュバンドを含む薬物。

【請求項34】

請求項20に記載のベクターならびに薬学的に許容できる担体、希釈剤、および／またはアジュバンドを含む薬剤組成物。

【請求項35】

請求項1に記載のヌクレオチド構築物を含む細胞。

【請求項36】

細胞が、原核生物、真核生物、細菌、アグロバクテリウム、酵母、植物、哺乳動物、およびヒトの細胞からなる群から選択される、請求項35に記載の細胞。

【請求項37】

植物が、アラビドプシス、ヒマワリ、ワタ、ナタネ、トウモロコシ、コムギ、トウゴマ、ヤシ、タバコ、ピーナッツ、モロコシ、サトウキビ、およびダイズからなる群から選択される、請求項3_6に記載の細胞。

【請求項 3_8】

標的を調節するための構築物を作製する方法であって、
塩基対合して構築物中にステム - ループ構造を形成することができる第1と第2の配列と
、第1と第2の配列の間に配置された第3の配列とを組み合わせて单一核酸配列にすることを含み、

前記第1と第2の配列が塩基対合すると、s i R N Aを生成することができ、前記第3の配列が、第1と第2の配列を互いに安定的に対合させるのに十分な長さであり、

前記第3の配列が、アンチセンス抑制を通じて標的を調節することができる配列を含む、
方法。

【請求項 3_9】

プロモーターに作動可能に連結された対象の遺伝子を含む第4の配列を、第1と第2の配列と組み合わせることをさらに含み、第3の配列が存在しても存在しなくてもよい、請求項3_8に記載の方法。

【請求項 4_0】

第4の配列が第1と第2の配列の間に配置されている、請求項3_8に記載の方法。