

【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12月17日(2024.12.17)

【国際公開番号】WO2023/171719

【出願番号】特願2024-506376(P2024-506376)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/62(2006.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

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)

C 1 2 P 21/02(2006.01)

C 1 2 N 15/57(2006.01)

C 1 2 N 9/64(2006.01)

A 6 1 P 7/02(2006.01)

A 6 1 P 31/14(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 38/36(2006.01)

A 6 1 K 38/16(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 35/12(2015.01)

C 1 2 N 15/09(2006.01)

C 0 7 K 14/745(2006.01)

10

20

【F I】

C 1 2 N 15/62 Z

C 1 2 N 15/63 Z Z N A

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 5/10

C 1 2 P 21/02 C

C 1 2 N 15/57

C 1 2 N 9/64

A 6 1 P 7/02

A 6 1 P 31/14

A 6 1 P 43/00 1 2 1

A 6 1 K 38/36

A 6 1 K 38/16

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 35/12

C 1 2 N 15/09 1 1 0

C 0 7 K 14/745

30

40

【手続補正書】

50

【提出日】令和6年1月12日(2024.1.12)

【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】

式： $A_1 - A_2 - A_3$ (I)

(式中、 A_1 はプロテインC若しくはそのホモログの軽鎖のアミノ酸配列を含むアミノ酸配列、 A_2 は自己切断部位を構成するアミノ酸配列、 A_3 はプロテインC若しくはそのホモログの重鎖のアミノ酸配列を含むアミノ酸配列を示し、 A_1 のC末端のアミノ酸及び A_3 のN末端のアミノ酸はそれぞれヒトプロテインCの211位のArg及び212位のLeuである)

で表されるアミノ酸配列を含む、ポリペプチド又はその部分ポリペプチドであって、 A_2 の切断部位のN末端側の断片とC末端側の断片とから成る二量体のタンパク質又はその部分タンパク質がプロテインC活性を有する、ポリペプチド又はその部分ポリペプチド、ここで該ポリペプチドは、以下の条件：

(1) A_1 をN末端側、 A_3 をC末端側として連結したアミノ酸配列(式： $A_1 - A_3$

(II))が、配列番号2のアミノ酸配列を含む；

(2) A_1 をN末端側、 A_3 をC末端側として連結したアミノ酸配列が、配列番号2で表されるアミノ酸配列において、1~45個のアミノ酸が欠失、置換、挿入、若しくは付加されたアミノ酸配列を含む；

又は

(3) A_1 をN末端側、 A_3 をC末端側として連結したアミノ酸配列が、配列番号2で表されるアミノ酸配列と90%以上の同一性を有するアミノ酸配列を含む、を満たし、

A_2 が、RKRKR(配列番号3)、KRKR(配列番号4)、RKRKRKR(配列番号8)、及びRKRKRKRKR(配列番号9)から成る群から選択される。

【請求項2】

(削除)

【請求項3】

(削除)

【請求項4】

A_2 が、RKRKR(配列番号3)又はKRKR(配列番号4)である、請求項1に記載のポリペプチド又はその部分ポリペプチド。

【請求項5】

ポリペプチドが、配列番号13又は配列番号14で表されるアミノ酸配列を含む、請求項1に記載のポリペプチド又はその部分ポリペプチド。

【請求項6】

請求項1に記載のポリペプチド又はその部分ポリペプチドの A_2 の切断部位のN末端側の断片とC末端側の断片とから成る二量体のタンパク質又はその部分タンパク質であって、該タンパク質又はその部分タンパク質はプロテインC活性を有する、タンパク質又はその部分タンパク質。

【請求項7】

請求項1に記載のポリペプチド又はその部分ポリペプチドをコードするヌクレオチド配列を含む、核酸。

【請求項8】

請求項7に記載の核酸を含む、ベクター。

【請求項9】

10

20

30

40

50

ベクターが、発現ベクターである、請求項 8 に記載のベクター。

【請求項 10】

ベクターがドナーベクターである、請求項 8 に記載のベクター。

【請求項 11】

ベクターが、プラスミドベクターである、請求項 8 に記載のベクター。

【請求項 12】

ベクターがウイルスベクターである、請求項 8 に記載のベクター。

【請求項 13】

ウイルスベクターがアデノ随伴ウイルス (A A V) ベクターである、請求項 12 に記載のベクター。

10

【請求項 14】

請求項 8 に記載のベクターを含む、宿主細胞。

【請求項 15】

請求項 14 に記載の宿主細胞を含む、宿主細胞集団。

【請求項 16】

請求項 1 に記載のポリペプチド又はその部分ポリペプチド、請求項 6 に記載のタンパク質又はその部分タンパク質、請求項 7 に記載の核酸、請求項 8 に記載のベクター、請求項 14 に記載の宿主細胞、又は請求項 15 に記載の宿主細胞集団を含む、医薬組成物。

【請求項 17】

請求項 10 に記載のベクター及び核酸代謝酵素をコードする核酸を含むベクターを含む、医薬組成物。

20

【請求項 18】

核酸代謝酵素が C R I S P R / C a s 9 系の核酸代謝酵素であり、ガイド R N A をコードする核酸を含むベクターを更に含むか、ガイド R N A をコードする核酸を、核酸代謝酵素をコードする核酸と共に含むベクターを含む、請求項 17 に記載の医薬組成物。

【請求項 19】

血液凝固抑制用である、請求項 16 に記載の医薬組成物。

【請求項 20】

血栓症の治療用又は予防用である、請求項 16 に記載の医薬組成物。

【請求項 21】

血栓症が静脈血栓症、播種性血管内凝固、(新生児) 電撃性紫斑病、深部静脈血栓症肺血栓塞栓症、及び新型コロナウイルス感染症に伴う血栓症から成る群から選択される、請求項 20 に記載の医薬組成物。

30

【請求項 22】

請求項 8 に記載のベクターを哺乳動物細胞にインビトロで導入することを含む、プロテイン C 発現細胞の製造方法。

【請求項 23】

請求項 22 に記載の方法によりプロテイン C 発現細胞を製造すること、該細胞から活性型プロテイン C を単離、精製し、製剤化すること、を含む、プロテイン C のリコンビナント製剤の製造方法。

40