

【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6月16日 (2011.6.16)

【公表番号】特表2010-530239(P2010-530239A)

【公表日】平成22年9月9日 (2010.9.9)

【年通号数】公開・登録公報2010-036

【出願番号】特願2010-512808(P2010-512808)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/711 (2006.01)

A 6 1 P 25/14 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A G

C 1 2 N 15/00 A

C 1 2 N 5/00 1 0 2

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/711

A 6 1 P 25/14

【手続補正書】

【提出日】平成23年4月19日 (2011.4.19)

【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】

相補的なセンスおよびアンチセンス領域を含み、

- アンチセンス領域が、ヒトハンチンチン転写産物に相補的な15から19以下の連続したヌクレオチドを有し、前記ヌクレオチドが、配列番号 1 ~ 3 からなる群より選択される配列によりコードされ、

- センスおよびアンチセンス領域が、互いに相補的で二重鎖を形成する少なくとも15の連続したヌクレオチドを有し、

- 内因性野生型および外因性ヒト変異ハンチンチン遺伝子の発現を、前記ハンチンチン遺伝子の両方を発現している非ヒト哺乳動物の細胞において阻害する、単離された二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項 2】

センス領域が、配列番号 4 ~ 6 からなる群より選択される配列によりコードされる少なくとも15個の連続したヌクレオチドを含む、請求項 1 に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項 3】

それぞれ15 ~ 約30ヌクレオチドの2つの別々のオリゴヌクレオチドから組み立てられ、少なくとも15塩基対の二重鎖構造を形成する、請求項 1 または 2 に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項 4】

31 ~ 約50ヌクレオチドの単一のオリゴヌクレオチドから組み立てられ、少なくとも15塩

基対の二重鎖構造および4～10ヌクレオチドのループ構造を有するヘアピンを形成する、請求項1または2に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項5】

ループが、配列番号7によりコードされる、請求項4に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項6】

配列番号8～10からなる群より選択される配列によりコードされる、請求項5に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項7】

一方または両方の3'末端が、1～約3の突出ヌクレオチドを含む、請求項1～6のいずれか1項に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項8】

両方の末端が平滑である、請求項1～6のいずれか1項に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項9】

RNA分子である、請求項1～8のいずれか1項に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項10】

1つ以上の改変されたピリミジンおよび/またはプリンヌクレオチドを含む、請求項1～9のいずれか1項に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項11】

少なくとも1つの改変されたヌクレオチド間リンケージを含む、請求項1～10のいずれか1項に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項12】

前記非ヒト哺乳動物が、マウスまたはラットである、請求項1～11のいずれか1項に記載の二本鎖短干渉核酸分子。

【請求項13】

転写開始領域と、転写終止領域と、請求項1～9のいずれか1項に記載の少なくとも1つの短干渉核酸分子をコードする核酸配列とを含み、

前記核酸配列が、宿主細胞において短干渉核酸分子の発現および/または送達を可能にする様式で前記開始領域に作動可能に連結する、転写ユニット。

【請求項14】

転写開始領域がドキシサイクリン制御プロモーターを含む、請求項13に記載の転写ユニット。

【請求項15】

請求項13または14に記載の転写ユニットを含む、発現ベクター。

【請求項16】

複製欠陥性で、多様性弱毒化レンチウイルスベクターである、請求項15に記載の発現ベクター。

【請求項17】

請求項15または16に記載のベクターにより改変された細胞。

【請求項18】

許容できる担体中に、請求項1～12のいずれか1項に記載の少なくとも1つの短干渉核酸分子または前記短干渉核酸分子をコードする請求項15もしくは16に記載の発現ベクターを含む、医薬組成物。

【請求項19】

ハンチントン病の予防または治療用医薬品の製造のための、請求項1～12のいずれか1項に記載の短干渉核酸分子または前記短干渉核酸分子をコードする請求項15もしくは16に記載の発現ベクターの使用。

【請求項20】

げっ歯類モデルにおけるハンチントン病の研究のための、請求項1～12のいずれか1項に記載の短干渉核酸分子または前記短干渉核酸分子をコードする請求項15もしくは1

6 に記載の発現ベクターの使用。