

【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3年9月9日(2021.9.9)

【公表番号】特表2020-535845(P2020-535845A)

【公表日】令和2年12月10日(2020.12.10)

【年通号数】公開・登録公報2020-050

【出願番号】特願2020-537887(P2020-537887)

【国際特許分類】

C 12 N 15/113 (2010.01)

C 12 N 15/11 (2006.01)

C 12 N 15/63 (2006.01)

C 12 N 15/09 (2006.01)

【F I】

C 12 N 15/113 Z N A Z

C 12 N 15/11 Z

C 12 N 15/63 Z

C 12 N 15/09 Z

【手続補正書】

【提出日】令和3年7月27日(2021.7.27)

【手続補正1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0155

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0155】

本発明のトランス作用型機能性核酸分子のもう1つの利点は、該分子がモジュール構造を有する、すなわち、独立した標的結合ドメインと独立したエフェクタードメインを有することである。

本件出願は、以下の態様の発明を提供する。

(態様1)

- タンパク質翻訳が増強されるべき真核生物標的mRNA配列に逆相補的な配列を含む標的結合配列；及び

- 内部リボソーム進入部位(IRES)配列又は内部リボソーム進入部位(IRES)由来配列を含み、かつ該標的mRNA配列の翻訳を増強する調節配列

：を含み、

ここで、該調節配列が該標的結合配列の3'に位置する、
トランス作用型機能性核酸分子。

(態様2)

前記標的結合配列が、3'から5'へと、1~50ヌクレオチドの5'非翻訳領域(5'UTR)及び1~40ヌクレオチドの前記標的mRNA配列のコード配列(CDS)に逆相補的な配列からなる、態様1記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態様3)

前記標的結合配列が、3'から5'へと、10~45ヌクレオチドの5'非翻訳領域(5'UTR)及び2~6ヌクレオチドの前記標的mRNA配列のコード配列(CDS)に逆相補的な配列からなる、態様2記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態様4)

前記IRES配列又はIRES由来配列が、前記トランス作用型機能性核酸分子において、該機能性核酸分子の5'から3'への向きに対して順向きに配向されている、態様1~3のいずれか

一項記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態 様 5)

前記IRES配列又はIRES由来配列が配列番号36～配列番号65からなる群から選択される配列と75%の相同性を有する配列である、態様1～4のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態 様 6)

前記IRES配列又はIRES由来配列が配列番号36～配列番号65からなる群から選択される配列と90%の相同性を有する配列である、態様5記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態 様 7)

前記IRES配列又はIRES由来配列が配列番号36～配列番号65からなる群から選択される配列である、態様6記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態 様 8)

前記トランス作用型機能性核酸分子がRNA分子又は修飾RNA分子である、態様1～7のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態 様 9)

前記標的結合配列と前記調節配列の間にスペーサー配列をさらに含む、態様1～8のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子。

(態 様 1 0)

態様1～9のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子をコードするDNA分子。

(態 様 1 1)

態様10記載のDNA分子を含む発現ベクター。

(態 様 1 2)

タンパク質翻訳を増強する方法であって、細胞に、態様1～9のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子又は態様10記載のDNA分子又は態様11記載の発現ベクターをトランسفェクトすることを含む、前記方法。

(態 様 1 3)

態様1～9のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子又は態様10記載のDNA分子又は態様11記載の発現ベクターを含む組成物。

(態 様 1 4)

標的mRNA配列の翻訳を増強するための、態様1～9のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子又は態様10記載のDNA分子又は態様11記載の発現ベクターの使用。

(態 様 1 5)

タンパク質コードmRNAの下方調節によって引き起こされる遺伝性疾患を治療する際に又は遺伝子量の低下が害を及ぼす遺伝性もしくは散発性疾患を治療する際に使用するための、態様1～9のいずれか一項記載のトランス作用型機能性核酸分子又は態様10記載のDNA分子又は態様11記載の発現ベクター。