

【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3部門第2区分

【発行日】令和3年10月14日(2021.10.14)

【公表番号】特表2020-533411(P2020-533411A)

【公表日】令和2年11月19日(2020.11.19)

【年通号数】公開・登録公報2020-047

【出願番号】特願2020-536493(P2020-536493)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)
A 6 1 K 38/02 (2006.01)
A 6 1 K 31/711 (2006.01)
A 6 1 K 9/14 (2006.01)
A 6 1 K 9/51 (2006.01)
A 6 1 K 47/24 (2006.01)
A 6 1 K 9/127 (2006.01)
A 6 1 K 38/19 (2006.01)
A 6 1 K 38/16 (2006.01)
A 6 1 K 38/20 (2006.01)
A 6 1 K 35/768 (2015.01)
A 6 1 P 35/00 (2006.01)
A 6 1 K 9/50 (2006.01)
A 6 1 K 47/59 (2017.01)
A 6 1 K 35/765 (2015.01)
A 6 1 K 35/763 (2015.01)
A 6 1 K 35/761 (2015.01)

【F I】

A 6 1 K 48/00
A 6 1 K 38/02
A 6 1 K 31/711
A 6 1 K 9/14
A 6 1 K 9/51
A 6 1 K 47/24
A 6 1 K 9/127
A 6 1 K 38/19
A 6 1 K 38/16
A 6 1 K 38/20
A 6 1 K 35/768
A 6 1 P 35/00
A 6 1 K 9/50
A 6 1 K 47/59
A 6 1 K 35/765
A 6 1 K 35/763
A 6 1 K 35/761

【手続補正書】

【提出日】令和3年8月31日(2021.8.31)

【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】

標的器官内のポリペプチド発現のための単離されたmRNA配列であって、前記ポリペプチドをコードする少なくとも1つのコード配列と、少なくとも第1の非翻訳領域(UTR)配列と、少なくとも3つの実質的に異なるマイクロRNA(miRNA)結合部位配列と、を含み、

前記少なくとも3つの実質的に異なるmiRNA結合部位配列は、前記第1のUTR配列内、前記第1のUTR配列のすぐ5'側、または前記第1のUTR配列のすぐ3'側に位置し、

前記少なくとも3つのmiRNA結合部位配列は、前記標的器官内の異なる細胞型におけるコード配列の差次的発現を可能にし、

前記ポリペプチドは、腫瘍溶解性ウイルスの病原性因子またはその等価物もしくは相同体を含む、単離されたmRNA配列。

【請求項2】

前記mRNA配列は、3つより多くの結合部位配列を含む、請求項1に記載の単離されたmRNA配列。

【請求項3】

前記複数のmiRNA結合部位配列は、複数の実質的に異なる配列からなる、請求項1または2に記載の単離されたmRNA配列。

【請求項4】

前記第1および第2の細胞型は、非新生物細胞の表現型、形質転換細胞の表現型、前癌性細胞の表現型、および新生物の表現型を含む群からの異なる選択である、請求項1～3のいずれか一項に記載の単離されたmRNA配列。

【請求項5】

前記標的器官は、肝臓、脳、肺、乳房、および胰臓からなる群から選択される、請求項1～4のいずれか一項に記載の単離されたmRNA配列。

【請求項6】

前記mRNAは、複数のコード配列を含む、請求項1～5のいずれか一項に記載の単離されたmRNA配列。

【請求項7】

前記マイクロRNA(miRNA)結合部位配列は、その変異体および相同体を含む1つ以上のmiRNA-122結合部位配列を含む、請求項1～6のいずれか一項に記載の単離されたmRNA配列。

【請求項8】

前記少なくとも3つの実質的に異なるmiRNA結合部位配列は、miRNA-122、miRNA-124a、miRNA-125、Let-7、およびmiRNA-375からなる群より選択されるmiRNAとハイブリダイズし得る、請求項1～6に記載の単離されたmRNA配列。

【請求項9】

請求項1～8のいずれか一項に記載のmRNA配列をコードする、ポリヌクレオチド発現ベクター構築物。

【請求項10】

標的器官内のポリペプチド発現のための組成物であって、

送達粒子と、

前記送達粒子と複合体を形成するか、前記送達粒子によってカプセル化されるか、または前記送達粒子と関連する、少なくとも1つの請求項1に記載のmRNA配列を含む、組成物。

【請求項 1 1】

前記送達粒子はアミノアルコールリピドイドを含む、請求項1 0に記載の組成物。

【請求項 1 2】

前記m R N A配列は前記送達粒子によってカプセル化される、請求項1 0または1 1に記載の組成物。

【請求項 1 3】

前記送達粒子は、前記標的器官を標的とする、請求項1 0～1 2のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 4】

前記送達粒子は、タンパク質、ペプチド、炭水化物、糖タンパク質、脂質、小分子および核酸から選択される標的化剤を含み、

前記標的化剤は、前記標的器官の細胞と優先的に会合する、請求項1 0～1 3のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 5】

腫瘍溶解性ウイルス治療を対象に施すことを含む癌の治療に使用するための、請求項1 0に記載の組成物。

【請求項 1 6】

前記癌は、肝癌、脳癌、肺癌、乳癌、または／および胰癌からなる群から選択される、請求項1 5に記載の組成物。

【請求項 1 7】

前記癌は、肝癌である、請求項1 6に記載の組成物。

【請求項 1 8】

前記m R N A配列は、腫瘍溶解性ウイルスの有効性を高める治療薬をコードする、請求項1 5～1 7のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項 1 9】

前記腫瘍溶解性ウイルスは、1つ以上の病原性遺伝子の突然変異によって弱毒化されている、請求項1 5～1 8のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項 2 0】

前記m R N A配列は、1つ以上の病原性遺伝子、またはその等価物もしくは相同体をコードする、請求項1 9に記載の組成物。

【請求項 2 1】

前記腫瘍溶解性ウイルスは、ウイルスのボルティモア分類の第I～VI群のいずれか1つから選択される、請求項1 5～2 0のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項 2 2】

前記腫瘍溶解性ウイルスは、水疱性口内炎ウイルス、マラバウイルス、ポリオウイルス、レオウイルス、麻疹ウイルス、ニューカッスル病ウイルス、コクサッキーウイルスA21、パルボウイルス、単純ヘルペスウイルス1型、およびアデノウイルスのうちの1つ以上を含む群から選択される、請求項1 5～2 1のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項 2 3】

前記腫瘍溶解性ウイルスは、単純ヘルペスウイルスである、請求項1 5～2 2のいずれか1項に記載の組成物。