

【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 ( U T R ) 配列と、  
少なくとも 3 つの実質的に異なるマイクロ RNA ( m i R N A ) 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 m i R N A 結合部位配列は、前記第 1 の U T R 配列内、前記第 1 の U T R 配列のすぐ 5 ' 側、または前記第 1 の U T R 配列のすぐ 3 ' 側に位置し、

前記 少なくとも 3 つの m i R N A 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 m i R N A 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、および脾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 ( m i R N A ) 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 m i R N A - 1 2 2 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 m i R N A 結合部位配列は、m i R N A - 1 2 2 、m i R N A - 1 2 4 a、m i R N A - 1 2 5、L e t - 7、および m i R N A - 3 7 5 からなる群より選択される m i R N A 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 / および膀胱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 ~ V I I 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 A 2 1、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。