

【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9月2日(2024.9.2)

【国際公開番号】WO2022/046815  
 【公表番号】特表2023-543125(P2023-543125A)  
 【公表日】令和5年10月13日(2023.10.13)  
 【年通号数】公開公報(特許)2023-193  
 【出願番号】特願2023-513298(P2023-513298)  
 【国際特許分類】

10

C 1 2 N 15/864(2006.01)  
 C 1 2 N 15/62(2006.01)  
 A 6 1 K 35/76(2015.01)  
 A 6 1 P 3/00(2006.01)  
 A 6 1 K 38/22(2006.01)  
 A 6 1 K 47/68(2017.01)

【F I】

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z  
 C 1 2 N 15/62 Z Z N A  
 A 6 1 K 35/76  
 A 6 1 P 3/00  
 A 6 1 K 38/22  
 A 6 1 K 47/68

20

【手続補正書】  
 【提出日】令和6年8月23日(2024.8.23)  
 【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

30

【補正の内容】  
 【特許請求の範囲】  
 【請求項1】

G L P - 1類似体及び I g G 4 F cを含む融合タンパク質をコードする配列を含む核酸を含む アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクター であって、前記融合タンパク質が、配列番号14の配列、又はそれと少なくとも99%同一の配列を有し、更に前記融合タンパク質をコードする前記配列が、配列番号15、又はそれと少なくとも75%同一の配列である、AAVベクター。

【請求項2】

(a) AAVカプシドと、  
 (b) AAVカプシド中にパッケージングされたベクターゲノムと、を含み、前記ベクターゲノムが、AAV逆位末端反復(ITR)、前記融合タンパク質のコード配列、及び前記融合タンパク質の発現を指示する調節配列を含む、請求項1に記載のAAVベクター。

40

【請求項3】

前記ウイルスベクターが、AAVrh91の前記AAVカプシドを有するrAAVである、請求項1又は2に記載のAAVベクター。

【請求項4】

誘導性遺伝子発現系、調節可能なプロモーター、前記融合タンパク質をコードする前記配列、及びポリアデニル化シグナルを含むベクターゲノムを含む、請求項1～3のいずれ

50

か一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 5】

前記 AAV 逆位末端反復 (ITR) が、前記融合タンパク質コード配列及び調節配列に隣接する、AAV2 5' ITR 及び AAV2 3' ITR である、請求項 2~4 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 6】

前記ベクターゲノムが、CB7プロモーター及びウサギグロビンポリAを含む、請求項 2~5 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 7】

前記誘導性遺伝子発現系が、

(a) トランス活性化ドメイン及びFKBP12-ラパマイシン関連タンパク質 (FRAP)のFKBP12-ラパマイシン結合 (FRB)ドメインを含む活性化ドメインと、

(b) ジンクフィンガーホメオドメイン (ZFHD)及び1、2、又は3個のFK506結合タンパク質ドメイン (FKBP)サブユニット遺伝子を含むDNA結合ドメインと

(c) ZFHD、それに続く最小IL2プロモーターに対する結合部位の少なくとも1つのコピーと、

(d) 調節可能なプロモーターと、を含み、

有効量のラパマイシン又はラパログの存在が、宿主細胞における前記導入遺伝子の発現を誘導する、請求項 4に記載の AAV ベクター。

【請求項 8】

前記 FKBPサブユニット遺伝子配列が、互いに約85%未満の同一性を共有し、更に前記 FKBPサブユニット遺伝子配列のうちの1つが、天然の FKBP 遺伝子配列である、請求項 7に記載の AAV ベクター。

【請求項 9】

前記 トランス活性化ドメインが、NF-B p65の一部を含む、請求項 7~8 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 10】

前記 調節可能なプロモーターが、構成的プロモーターか又は CMVプロモーターである、請求項 7~9 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 11】

IRES 又は 2A を更に含む、請求項 7~10 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 12】

GT2A\_\_V1 (配列番号 21) 又は GT2A\_\_V2 (配列番号 22) から選択される 2Aリンカー を更に含む、請求項 7~11 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 13】

前記 ZFHD に対する結合部位の少なくとも8つのコピーを含む、請求項 7~12 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 14】

前記ベクターゲノムが、配列番号 16 の配列、又はそれと少なくとも70%同一の配列を含む、請求項 7~13 のいずれか一項に記載の AAV ベクター。

【請求項 15】

対象における代謝性疾患を治療するための、水性液体と請求項 1~14 のいずれかに記載の AAV ベクターとを含む薬学的組成物の使用。

10

20

30

40

50