

【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 2 年 7 月 9 日 (2020.7.9)

【公開番号】特開 2020-78352 (P2020-78352A)

【公開日】令和 2 年 5 月 28 日 (2020.5.28)

【年通号数】公開・登録公報 2020-021

【出願番号】特願 2020-36624 (P2020-36624)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/62 (2006.01)

C 1 2 N 15/85 (2006.01)

C 0 7 K 19/00 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 P 21/02 (2006.01)

A 6 1 P 7/04 (2006.01)

A 6 1 P 17/02 (2006.01)

A 6 1 K 38/02 (2006.01)

A 6 1 K 39/395 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 35/12 (2015.01)

C 0 7 K 16/00 (2006.01)

C 0 7 K 14/755 (2006.01)

【 F I 】

C 1 2 N 15/62 Z N A Z

C 1 2 N 15/85 Z

C 0 7 K 19/00

C 1 2 N 5/10

C 1 2 P 21/02 C

A 6 1 P 7/04

A 6 1 P 17/02

A 6 1 K 38/02

A 6 1 K 39/395 Y

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 35/12

C 0 7 K 16/00

C 0 7 K 14/755

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 5 月 22 日 (2020.5.22)

【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】

ポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセットであって、(i) 第一のポリヌクレオチドおよび (i i) 第二のポリヌクレオチドを含み、ここで、

(i) 前記第一のポリヌクレオチドが、

(a) von Willebrand 因子 (VWF) 断片であって、VWF の D 1 ドメイン、D 2 ドメイン、D ' ドメイン、および D 3 ドメインを含む、VWF 断片

(b) 第一の X T E N 配列、および

(c) 第一の F c 領域

を含む第一のポリペプチド鎖をコードし、

(i i) 前記第二のポリヌクレオチドが、

(a) 第 V I I I 因子 (F V I I I) タンパク質であって、前記 F V I I I タンパク質中に挿入された第二の X T E N 配列を有する、F V I I I タンパク質、および

(b) 第二の F c 領域

を含む第二のポリペプチド鎖をコードし、ここで、

前記第一の X T E N 配列が、リンカーにより前記第一の F c 領域と連結されており、

前記第一の X T E N 配列が、配列番号 1 3 1 と少なくとも 8 0 % 同一であるアミノ酸配列を含み、

前記第二の X T E N 配列が、配列番号 3 9 と少なくとも 8 0 % 同一であるアミノ酸配列を含み、

前記第一の F c 領域が、ジスルフィド結合により前記第二の F c 領域と連結される、ポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 2】

前記第二のポリヌクレオチドにコードされる前記 F V I I I タンパク質が、B ドメインまたはその一部を含む、請求項 1 に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 3】

前記第二のポリヌクレオチドにコードされる前記 F V I I I タンパク質が、全長成熟型ヒト第 V I I I 因子 (配列番号 4) のアミノ酸 1 ~ 7 4 5 を含み、前記第二の X T E N 配列が、全長成熟型ヒト F V I I I (配列番号 4) の 7 4 5 残基に対応する挿入部位のすぐ下流で前記 F V I I I タンパク質中に挿入される、請求項 1 ~ 2 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 4】

前記第二のポリヌクレオチドにコードされる前記 F V I I I タンパク質が、一本鎖 F V I I I アイソフォームである、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 5】

前記第一のポリヌクレオチドにコードされる VWF の前記 D ' ドメインが、配列番号 2 のアミノ酸 7 6 4 ~ 8 6 6 と少なくとも 9 5 % 同一であるアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 6】

前記第一のポリヌクレオチドにコードされる VWF の前記 D ' ドメインが、配列番号 2 のアミノ酸 7 6 4 ~ 8 6 6 に記載のアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 7】

前記第一のポリヌクレオチドにコードされる VWF の前記 D 3 ドメインが、配列番号 2 のアミノ酸 8 6 7 ~ 1 2 4 0 と少なくとも 9 5 % 同一であるアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 8】

前記第一のポリヌクレオチドにコードされる前記 VWF 断片が、配列番号 2 のアミノ酸 2 3 ~ 1 2 4 0 と少なくとも 9 9 % 同一であるアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 9】

前記第一のポリペプチド鎖が、配列番号 1 1 9 のアミノ酸配列と少なくとも 9 0 % 同一

であるアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 10】

前記第二のポリペプチド鎖が、配列番号 103 のアミノ酸配列と少なくとも 80 % 同一であるアミノ酸配列を含む、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 11】

ポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセットであって、第一のポリヌクレオチドおよび第二のポリヌクレオチドを含み、ここで、

前記第一のポリヌクレオチドが、配列番号 119 と少なくとも 80 % 同一であるアミノ酸配列を含む第一のポリペプチド鎖をコードし、

前記第二のポリヌクレオチドが、配列番号 103 と少なくとも 80 % 同一であるアミノ酸配列を含む第二のポリペプチド鎖をコードする、ポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 12】

Paired basic Amino acid Cleaving Enzyme (PACE) をコードするポリヌクレオチドをさらに含む、請求項 1 ~ 11 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセット。

【請求項 13】

請求項 1 ~ 12 のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセットを含む、宿主細胞。

【請求項 14】

前記宿主細胞が、哺乳類細胞である、請求項 13 に記載の宿主細胞。

【請求項 15】

前記哺乳類細胞が、HEK293細胞、CHO細胞、またはBHK細胞である、請求項 14 に記載の宿主細胞。

【請求項 16】

前記哺乳類細胞が、HEK293細胞である、請求項 15 に記載の宿主細胞。

【請求項 17】

前記哺乳類細胞が、HEK293F細胞である、請求項 14 に記載の宿主細胞。

【請求項 18】

前記宿主細胞が、前記ポリヌクレオチドまたはポリヌクレオチドのセットで安定的にトランスフェクトされている、請求項 14 ~ 17 のいずれか一項に記載の宿主細胞。

【請求項 19】

請求項 18 に記載の宿主細胞を含む、安定細胞株。