【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7年6月30日(2025.6.30)

【国際公開番号】WO2022/268835
【公表番号】特表2024-523445(P2024-523445A)
【公表日】令和6年6月28日(2024.6.28)
【年通号数】公開公報(特許)2024-120
【出願番号】特願2023-578738(P2023-578738)
【国際特許分類】
C12N 15/113(2010.01)
C12N 15/864(2006.01)
C12N 7/01(2006.01)
A61K 48/00(2006.01)
A61K 45/00(2006.01)
A61P 25/02(2006.01)
A61P 25/00(2006.01)
A61P 25/16(2006.01)
A61P 37/06(2006.01)
A61P 43/00(2006.01)
A61K 31/7105(2006.01)
A61K 31/711(2006.01)
A61K 35/76(2015.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ １５/１１３ ＺＺＮＡ
Ｃ１２Ｎ １５/８６４１００Ｚ
Ｃ１２Ｎ ７/０１
Ａ６１Ｋ ４８/００
Ａ６１Ｋ ４５/００
Ａ６１Ｐ ２５/０２
Ａ６１Ｐ ２５/００
Ａ６１Ｐ ２５/１６
Ａ６１Ｐ ３７/０６
Ａ６１Ｐ ４３/００ １２１
Ａ６１Ｋ ３１/７１０５
Ａ６１Ｋ ３１/７１１
Ａ６１Ｋ ３５/７６

【手続補正書】
【提出日】令和7年6月20日(2025.6.20)
【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】
ＲＮＡをコードする核酸配列を含む核酸であって、前記ＲＮＡに含まれるＲＮＡ配列がα－シヌクレイン（α－ｓｙｎ）遺伝子（ＳＮＣＡ）の標的配列に実質的に相補的であり、前記ＲＮＡ配列が少なくとも１５個のヌクレオチドを有し、前記ＲＮＡがヘアピンを含

み、前記ＲＮＡが配列番号１、配列番号２、又は配列番号１若しくは配列番号２のバリアントを含む、核酸。
【請求項２】
前記ヘアピンが少なくとも３９個のヌクレオチドを含む、請求項１に記載の核酸。
【請求項３】
前記ＲＮＡ配列が少なくとも１８個のヌクレオチドを有する、請求項１に記載の核酸。
【請求項４】
前記ＲＮＡ配列が最大３２個のヌクレオチドを有する、請求項１に記載の核酸。
【請求項５】
前記標的配列が、前記α－ｓｙｎ遺伝子に含まれるエクソンの一部である、請求項１に記載の核酸。
【請求項６】
前記エクソンが、エクソン２、エクソン４及びエクソン６からなる群から選択される、請求項５に記載の核酸。
【請求項７】
前記エクソンの前記部分が、配列番号３～９及び配列番号３～９のバリアントからなる群から選択される配列からなる、請求項５に記載の核酸。
【請求項８】
前記ＲＮＡ配列が、配列番号１０～１６及び配列番号１０～１６のバリアントからなる群から選択される１つの配列を含む、請求項１に記載の核酸。
【請求項９】
ＤＮＡ分子である、請求項１に記載の核酸。
【請求項１０】
ＤＮＡ発現カセットに含まれるＤＮＡ分子であって、前記ＤＮＡ発現カセットにおいて、プロモーター及びポリＡテールをさらに含み、前記核酸が逆方向末端反復配列（ＩＴＲ）に隣接している、請求項９に記載のＤＮＡ分子。
【請求項１１】
前記プロモーターがユビキタスプロモーター；ニューロン特異的プロモーター；又はグリア特異的プロモーターである、請求項１０に記載のＤＮＡ分子。
【請求項１２】
請求項９に記載のＤＮＡ分子を含むアデノ随伴ウイルス（ＡＡＶ）ビヒクル。
【請求項１３】
ＡＡＶ５又はＡＡＶ９カプシドタンパク質配列を含むカプシドを含む、請求項１２に記載のＡＡＶビヒクル。
【請求項１４】
前記ＡＡＶビヒクルが遺伝子治療ビヒクルである、請求項１２に記載のＡＡＶビヒクル。
【請求項１５】
請求項１４に記載のＡＡＶビヒクルと、少なくとも１つの薬学的に許容される賦形剤とを含む組成物。
【請求項１６】
医薬として使用するための、請求項１２に記載のＡＡＶビヒクル。
【請求項１７】
医薬として使用するための、請求項１５に記載の組成物。
【請求項１８】
前記医薬が、α－ｓｙｎ遺伝子によってコードされる転写物を減少させる及び／又はノックダウンする、請求項１６に記載のＡＡＶビヒクル。
【請求項１９】
前記医薬が、α－ｓｙｎ遺伝子によってコードされる転写物を減少させる及び／又はノックダウンする、請求項１７に記載の組成物。

【請求項２０】
前記医薬が、レビー小体及び／又はＰａｐｐ－Ｌａｎｔｏｓ小体の量を減少させる、請求項１６に記載のＡＡＶビヒクル。
【請求項２１】
前記医薬が、レビー小体及び／又はＰａｐｐ－Ｌａｎｔｏｓ小体の量を減少させる、請求項１７に記載の組成物。
【請求項２２】
前記医薬が、パーキンソン病（ＰＤ）、レビー小体型認知症（ＬＢＤ）、多系統萎縮症（ＭＳＡ）、神経障害症状、ＰＤの運動症状、認知障害、睡眠障害、自律神経障害、及び／又は嗅覚障害の臨床症状を治療及び／又は予防するために使用される、請求項１６に記載のＡＡＶビヒクル。
【請求項２３】
前記医薬が、パーキンソン病（ＰＤ）、レビー小体型認知症（ＬＢＤ）、多系統萎縮症（ＭＳＡ）、神経障害症状、ＰＤの運動症状、認知障害、睡眠障害、自律神経障害、及び／又は嗅覚障害の臨床症状を治療及び／又は予防するために使用される、請求項１７に記載の組成物。
【請求項２４】
前記医薬がＰＤ及び／又はＭＳＡを治療及び／又は予防するために使用される、請求項１６に記載のＡＡＶビヒクル。
【請求項２５】
前記医薬がＰＤ及び／又はＭＳＡを治療及び／又は予防するために使用される、請求項１７に記載の組成物。
【請求項２６】
請求項１２に記載のＡＡＶビヒクルを製造する方法。
【請求項２７】
免疫抑制化合物をさらに含む、請求項１２に記載のＡＡＶビヒクルを含むキット。