

【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5年11月17日(2023.11.17)

【公開番号】特開2023-115348(P2023-115348A)

【公開日】令和5年8月18日(2023.8.18)

【年通号数】公開公報(特許)2023-155

【出願番号】特願2023-108132(P2023-108132)

【国際特許分類】

C 12 N 15/12(2006.01)

10

C 12 N 15/62(2006.01)

C 12 N 15/864(2006.01)

C 12 N 7/01(2006.01)

A 61 P 7/04(2006.01)

A 61 K 35/76(2015.01)

A 61 K 48/00(2006.01)

A 61 K 38/37(2006.01)

A 61 K 31/7088(2006.01)

【F I】

C 12 N 15/12 Z N A

20

C 12 N 15/62 Z

C 12 N 15/864100Z

C 12 N 7/01

A 61 P 7/04

A 61 K 35/76

A 61 K 48/00

A 61 K 38/37

A 61 K 31/7088

【手続補正書】

30

【提出日】令和5年11月7日(2023.11.7)

【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】

C S 0 4 - F L - N A (配列番号: 1) に対して少なくとも 95 % の同一性を有するヌクレオチド配列を含む、ポリヌクレオチドであって、

40

軽鎖と、重鎖と、前記重鎖の C 末端を前記軽鎖の N 末端に連結させるポリペプチドリンカーとを含む第 V I I I 因子ポリペプチドをコードする、前記ポリヌクレオチド。

【請求項2】

前記ヌクレオチド配列が、C S 0 4 - F L - N A (配列番号: 1) に対して少なくとも 96 % の同一性を有する、請求項1に記載のポリヌクレオチド。

【請求項3】

前記ヌクレオチド配列が、C S 0 4 - F L - N A (配列番号: 1) に対して少なくとも 97 % の同一性を有する、請求項1または2に記載のポリヌクレオチド。

【請求項4】

前記ヌクレオチド配列が、C S 0 4 - F L - N A (配列番号: 1) に対して少なくとも

50

98%の同一性を有する、請求項1～3のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項5】

前記ヌクレオチド配列が、CS04-FL-NA（配列番号：1）に対して少なくとも99%の同一性を有する、請求項1～4のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項6】

前記第VIII因子ポリペプチドが、CS04-FL-AA（配列番号：2）に対して少なくとも97%の同一性を有する、請求項1～5のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項7】

前記第VIII因子ポリペプチドが、CS04-FL-AA（配列番号：2）に対して少なくとも98%の同一性を有する、請求項1～6のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。 10

【請求項8】

前記第VIII因子ポリペプチドの重鎖が、CS04-HC-NA（配列番号：3）に対して少なくとも95%の同一性を有する第1のヌクレオチド配列によってコードされる、請求項1～7のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。

【請求項9】

前記第VIII因子ポリペプチドの軽鎖が、CS04-LC-NA（配列番号：4）に対して少なくとも95%の同一性を有する第2のヌクレオチド配列によってコードされる、請求項1～8のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。 20

【請求項10】

前記第1のヌクレオチド配列が、CS04-HC-NA（配列番号：3）に対して少なくとも96%の同一性を有する、請求項8または9に記載のポリヌクレオチド。

【請求項11】

前記第1のヌクレオチド配列が、CS04-HC-NA（配列番号：3）に対して少なくとも97%の同一性を有する、請求項8または9に記載のポリヌクレオチド。

【請求項12】

前記第1のヌクレオチド配列が、CS04-HC-NA（配列番号：3）に対して少なくとも98%の同一性を有する、請求項8または9に記載のポリヌクレオチド。

【請求項13】

前記第2のヌクレオチド配列が、CS04-LC-NA（配列番号：4）に対して少なくとも96%の同一性を有する、請求項8または9に記載のポリヌクレオチド。 30

【請求項14】

前記第2のヌクレオチド配列が、CS04-LC-NA（配列番号：4）に対して少なくとも97%の同一性を有する、請求項8または9に記載のポリヌクレオチド。

【請求項15】

前記第2のヌクレオチド配列が、CS04-LC-NA（配列番号：4）に対して少なくとも98%の同一性を有する、請求項8または9に記載のポリヌクレオチド。

【請求項16】

前記ポリペプチドリンカーが、furin切断部位を含む、請求項1～15のいずれか一項に記載のポリヌクレオチド。 40

【請求項17】

請求項1～16のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む、アデノ随伴ウイルス（AAV）ベクター。

【請求項18】

請求項1～16のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む、アデノ随伴ウイルス（AAV）粒子。

【請求項19】

請求項1～16のいずれか1項に記載のポリヌクレオチドを含むアデノ随伴ウイルス（AAV）粒子に感染した、宿主細胞。

【請求項 20】

哺乳類の宿主細胞内に請求項1～16のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを導入する段階

を含む、アデノ随伴ウイルス（AAV）粒子を作製するためのインビトロの方法であって、前記ポリヌクレオチドが前記哺乳類宿主細胞において複製能力がある、前記方法。

【請求項 21】

血友病の治療に使用するための、請求項1～16のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを含む医薬組成物。

【請求項 22】

血友病の治療のための医薬の製造における、請求項1～16のいずれか1項に記載のポリヌクレオチドの使用。 10

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】配列表

【補正方法】変更

【補正の内容】

【配列表】

2023115348000001.xml

20

30

40

50