

【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 8 月 20 日 (2020.8.20)

【公表番号】特表 2019-524098 (P2019-524098A)

【公表日】令和 1 年 9 月 5 日 (2019.9.5)

【年通号数】公開・登録公報 2019-036

【出願番号】特願 2019-501985 (P2019-501985)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 38/02 (2006.01)

A 6 1 K 38/46 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 35/761 (2015.01)

A 6 1 P 19/08 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/28 (2006.01)

A 6 1 P 25/18 (2006.01)

A 6 1 P 13/12 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 1/04 (2006.01)

A 6 1 P 11/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/06 (2006.01)

A 6 1 P 7/04 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/14 (2006.01)

A 6 1 P 25/16 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 13/02 (2006.01)

A 6 1 P 7/06 (2006.01)

C 1 2 N 15/867 (2006.01)

C 1 2 N 15/861 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 N 5/0786 (2010.01)

C 1 2 N 5/0787 (2010.01)

C 1 2 N 5/077 (2010.01)

C 1 2 N 5/0793 (2010.01)

C 1 2 N 5/075 (2010.01)

C 1 2 N 5/076 (2010.01)

【 F I 】

C 1 2 N 15/09 1 1 0

A 6 1 K 48/00 Z N A

A 6 1 K 38/02

A 6 1 K 38/46

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 35/761

A 6 1 P 19/08

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 P 25/28

A 6 1 P	25/18	
A 6 1 P	13/12	
A 6 1 P	35/00	
A 6 1 P	1/04	
A 6 1 P	11/00	
A 6 1 P	3/06	
A 6 1 P	7/04	
A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	25/14	
A 6 1 P	25/16	
A 6 1 P	3/00	
A 6 1 P	13/02	
A 6 1 P	7/06	
C 1 2 N	15/867	Z
C 1 2 N	15/861	Z
C 1 2 N	15/864	1 0 0 Z
C 1 2 N	5/0786	
C 1 2 N	5/0787	
C 1 2 N	5/077	
C 1 2 N	5/0793	
C 1 2 N	5/075	
C 1 2 N	5/076	

【手続補正書】

【提出日】令和2年7月13日(2020.7.13)

【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】

非分裂細胞のゲノムに外来性DNA配列を組み込む方法であって、該方法は、外来性DNA配列と標的配列を含む標的構築物、標的配列に相同する相補鎖オリゴヌクレオチド、及びヌクレアーゼに非分裂細胞を接触させる工程を含み、ここで、外来性DNA配列は、ゲノムと比較して少なくとも1つのヌクレオチドの差異を含み、標的配列はヌクレアーゼにより認識される、方法。

【請求項 2】

外来性DNA配列は非分裂細胞のゲノムにおける突然変異を修正する、ことを特徴とする請求項 1 に記載の方法。

【請求項 3】

外来性DNA配列は非分裂細胞のゲノムにおける突然変異を引き起こす、ことを特徴とする請求項 1 に記載の方法。

【請求項 4】

ヌクレアーゼは、CRISPRヌクレアーゼ、TALEN、DNA誘導型ヌクレアーゼ、メガヌクレアーゼ、及びジンクフィンガーヌクレアーゼからなる群から選択される、ことを特徴とする請求項 1 に記載の方法。

【請求項 5】

ヌクレアーゼは、Cas9、Cpf1、Cas12b(C2c1)、Cas3、Csf1、Cas13a(C2c2)、Cas13b(C2c6)、及びC2c3からなる群か

ら選択されるCRISPRヌクレアーゼである、ことを特徴とする請求項1に記載の方法。

【請求項6】

非分裂細胞は最終分化細胞あるいは静止期にある幹細胞を含む、ことを特徴とする請求項1に記載の方法。

【請求項7】

標的構築物、相補鎖オリゴヌクレオチド、及び、ヌクレアーゼをコードするポリヌクレオチドは、非ウイルスベクター又はウイルスベクターに含まれており、ならびに、ウイルスベクターは、レンチウイルス、レトロウイルス、アデノウイルス、ならびにアデノ随伴ウイルスからなる群から選択される、ことを特徴とする請求項1に記載の方法。

【請求項8】

標的配列は、ヌクレアーゼによって特異的に切断される配列である、ことを特徴とする請求項1に記載の方法。

【請求項9】

非分裂細胞は、リンパ球、単球、好中球、好酸球、好塩基球、内皮細胞、上皮細胞、肝細胞、骨細胞、血小板、脂肪細胞、心筋細胞、ニューロン、網膜細胞、平滑筋細胞、骨格筋細胞、精母細胞、卵母細胞、及び脾臓細胞のうち1つ以上から選択される、ことを特徴とする請求項1に記載の方法。

【請求項10】

必要とする被験体の遺伝性疾患を処置する方法であって、ここで、遺伝性疾患は、野生型遺伝子と比較して少なくとも1つの変更されたヌクレオチドを持つ突然変異遺伝子から結果として生じ、前記方法は、野生型遺伝子又はその断片に相同するDNA配列と標的配列とを含む標的構築物、標的配列に相同する相補鎖オリゴヌクレオチド、及びヌクレアーゼを含む組成物に、被験体の少なくとも1つの細胞を接触させる工程を含み、標的配列は、突然変異遺伝子又はその突然変異断片が野生型遺伝子又はその断片と置き換えられるようにヌクレアーゼによって認識される、方法。

【請求項11】

ヌクレアーゼは、CRISPRヌクレアーゼ、TALEN、DNA誘導型ヌクレアーゼ、メガヌクレアーゼ、及びジンクフィンガーヌクレアーゼから選択される、ことを特徴とする請求項10に記載の方法。

【請求項12】

ヌクレアーゼは、Cas9、Cpf1、Cas12b(C2c1)、Cas3、Csf1、Cas13a(C2c2)、Cas13b(C2c6)、及びC2c3からなる群から選択されるCRISPRヌクレアーゼである、ことを特徴とする請求項10に記載の方法。

【請求項13】

標的配列は、ヌクレアーゼによって特異的に切断される、ことを特徴とする請求項10に記載の方法。

【請求項14】

標的配列は、一旦、突然変異遺伝子又はその断片が正確な配向で野生型遺伝子又はその断片と置き換えられると存在しなくなる、ことを特徴とする請求項10に記載の方法。

【請求項15】

野生型遺伝子又はその断片に相同するDNA配列と標的配列とを含む標的構築物、標的配列に相同する相補鎖オリゴヌクレオチド、及びヌクレアーゼを含む、組成物であって、標的配列はヌクレアーゼにより認識される、組成物。

【請求項16】

ヌクレアーゼは、CRISPRヌクレアーゼ、TALEN、DNA誘導型ヌクレアーゼ、メガヌクレアーゼ、及びジンクフィンガーヌクレアーゼから選択される、ことを特徴とする請求項15に記載の組成物。

【請求項17】

ヌクレアーゼは、C a s 9、C p f 1、C a s 1 2 b (C 2 c 1)、C a s 3、C s f 1、C a s 1 3 a (C 2 c 2)、C a s 1 3 b (C 2 c 6)、及びC 2 c 3から選択されるC R I S P Rヌクレアーゼである、ことを特徴とする請求項 1 5 に記載の組成物。

【請求項 1 8】

標的構築物、相補鎖オリゴヌクレオチド、及び、ヌクレアーゼをコードするポリヌクレオチドは、非ウイルスベクター又はウイルスベクターに含まれており、ならびに、ウイルスベクターは、レンチウイルス、レトロウイルス、アデノウイルス、及びアデノ随伴ウイルスから選択される、ことを特徴とする請求項 1 5 に記載の組成物。

【請求項 1 9】

組成物は非分裂細胞を含む、ことを特徴とする請求項 1 5 に記載の組成物。

【請求項 2 0】

D N A 配列を改変する方法であって、該方法は、外来性D N A 配列と標的配列の1を超えるコピーとを含む標的構築物、標的配列に相同する相補鎖オリゴヌクレオチド、及びヌクレアーゼに、D N A 配列を接触させる工程を含み、ここで、外来性D N A 配列は、D N A 配列と比較して少なくとも1つのヌクレオチドの差異を含み、標的配列はヌクレアーゼにより認識される、方法。