

【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 2 月 3 日(2025.2.3)

【公開番号】特開 2024-54426(P2024-54426A)

【公開日】令和 6 年 4 月 16 日(2024.4.16)

【年通号数】公開公報(特許)2024-070

【出願番号】特願 2024-31460(P2024-31460)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/63(2006.01)

10

C 1 2 N 15/55(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

C 1 2 N 7/01(2006.01)

C 1 2 N 5/10(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 P 3/00(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

C 1 2 N 15/35(2006.01)

20

【F I】

C 1 2 N 15/63 Z Z N A

C 1 2 N 15/55

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 7/01

C 1 2 N 5/10

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 P 3/00

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/76

C 1 2 N 15/35

30

【手続補正書】

【提出日】令和 7 年 1 月 24 日(2025.1.24)

【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】

40

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

配列番号 14 と少なくとも 80% 同一である核酸配列を含む組換え核酸。

【請求項 2】

前記核酸配列が配列番号 14 に記載の核酸配列を含む、請求項 1 に記載の組換え核酸。

【請求項 3】

前記核酸配列が配列番号 14 に記載の核酸配列からなる、請求項 2 に記載の組換え核酸。

【請求項 4】

組換えアデノ随伴ウイルス(rAAV)であって、AAV キャプシドおよびその中にパッケージされたベクターゲノムを含み、前記ベクターゲノムが、請求項 1 ~ 3 のいずれか一

50

項に記載の組換え核酸を含む、 $rAAV$ 。

【請求項 5】

前記 AAV キャプシドが、血清型 9、8、1、2、3、4、5、6、7、10、11、12、 $rh10$ 、または $hu37$ の AAV に由来する、請求項 4 に記載の $rAAV$ 。

【請求項 6】

請求項 4 または請求項 5 に記載の $rAAV$ と、薬学的に受容可能なキャリアとを含む組成物。

【請求項 7】

ヒト被験体においてウィルソン病を処置するための、請求項 6 に記載の組成物。

【請求項 8】

前記組成物が、皮下、筋肉内、皮内、腹腔内、または静脈内に投与される、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記 $rAAV$ が、約 1×10^{11} ゲノムコピー (GC) / kg ~ 約 1×10^{14} GC / kg の用量で投与される、請求項 7 または 8 に記載の組成物。

【請求項 10】

前記 $rAAV$ が、約 5.0×10^{12} GC / kg、約 1.0×10^{13} GC / kg、または約 2.0×10^{13} GC / kg の用量で投与される、請求項 9 に記載の組成物。

10

20

30

40

50