

【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】平成18年4月13日(2006.4.13)

【公表番号】特表2005-520519(P2005-520519A)

【公表日】平成17年7月14日(2005.7.14)

【年通号数】公開・登録公報2005-027

【出願番号】特願2003-576613(P2003-576613)

【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 P 43/00 (2006.01)

C 1 2 N 1/15 (2006.01)

C 1 2 N 1/19 (2006.01)

C 1 2 N 1/21 (2006.01)

C 1 2 N 9/16 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A A

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 43/00 1 1 1

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 9/16 Z

C 1 2 N 5/00 A

【手続補正書】

【提出日】平成18年2月20日(2006.2.20)

【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】

N-末端からC-末端の方向に第一のドメインおよび第二のドメインを含み、該第一および第二のドメインが2つの異なる当初のドデカペプチドに由来し、かつハイブリッドメガヌクレアーゼがDNA切断を起こし得る、ハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項2】

第一のドメインが第一のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、かつ第二のドメインが第二のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、該第一および第二のドメインが適切なリンカーにより結合している、請求項1に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項3】

第一のドメインがモノ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、かつ第二のドメインがジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、該第一および第二のドメインが適切なリンカーにより結合している、請求項1に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項4】

第一のドメインがジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、かつ第二のドメインがモノ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、該第一および第二のドメインが適切なリンカーにより結合している、請求項1に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項5】

第一のドメインがモノ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、かつ第二のドメインが別のモノ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、該第一および第二のドメインが適切なリンカーにより結合している、請求項1に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項6】

第一のドメインが第一のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのN-末端ドメインに由来し、かつ第二のドメインが第二のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのC-末端ドメインに由来する、請求項2に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項7】

第一のドメインが第一のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのN-末端ドメインに由来し、かつ第二のドメインが第二のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのN-末端ドメインに由来する、請求項2に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項8】

第一のドメインが第一のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのC-末端ドメインに由来し、かつ第二のドメインが第二のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのC-末端ドメインに由来する、請求項2に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項9】

第一のドメインが第一のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのC-末端ドメインに由来し、かつ第二のドメインが第二のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのN-末端ドメインに由来する、請求項2に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項10】

第二のドメインが、ジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのN-末端ドメインに由来する、請求項3に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項11】

第二のドメインが、ジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのC-末端ドメインに由来する、請求項3に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項12】

第一のドメインが、ジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのN-末端ドメインに由来する、請求項4に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項13】

第一のドメインが、ジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼのC-末端ドメインに由来する、請求項4に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項14】

適切なリンカーが、ジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来するループを含む、請求項1～13のいずれか1つに記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項15】

適切なリンカーが、第一のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来するループまたはその部分を含む、請求項2、4、6、7および12のいずれか1つに記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項16】

適切なリンカーが、第二のジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来するループまたはその部分を含む、請求項2、3、6、8および11のいずれか1つに記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項17】

ドデカペプチドメガヌクレアーゼが、I-Sce I、I-Chu I、I-Dmo I、I-Cre I、I-Csm I、PI-Sce I、PI-Tli I、PI-Mtu I、I-Ceu I、I-Sce II、I-Sce III、H0、PI-Civ I、PI-C

tr I、PI-Aae I、PI-Bsu I、PI-Dha I、PI-Dra I、PI-Mav I、PI-Mch I、PI-Mfu I、PI-Mfl I、PI-Mga I、PI-Mgo I、PI-Min I、PI-Mka I、PI-Mle I、PI-Mma I、PI-Msh I、PI-Msm I、PI-Mth I、PI-Mtu I、PI-Mxe I、PI-Npu I、PI-Pfu I、PI-Rma I、PI-Spb I、PI-Ssp I、PI-Fac I、PI-Mja I、PI-Pho I、PI-Tag I、PI-Thy I、PI-Tko IおよびPI-Tsp I；好ましくはI-Sce I、I-Chu I、I-Dmo I、I-Cre I、I-Csm I、PI-Pfu I、PI-Sce I、PI-Tli I、PI-Mtu I、I-Ceu I、I-Sce II、I-Sce IIIおよびH0からなる群より選択される、請求項1～16のいずれか1つに記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項18】

ドデカペプチドメガヌクレアーゼが、I-Sce I、I-Chu I、I-Dmo I、I-Cre I、I-Csm I、PI-Sce I、PI-Pfu I、PI-Tli I、PI-Mtu IおよびI-Ceu Iからなる群より選択される、請求項17に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項19】

ジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼがI-Dmo Iであり、かつモノ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼがI-Cre Iである、請求項4または12に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項20】

ハイブリッドメガヌクレアーゼが、配列番号4の配列を含む、請求項19に記載のハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項21】

N-末端からC-末端の方向に該第一のドメインおよび該第二のドメインを含み、各ドメインが同じジ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、かつ第一のドメインがC-末端ドメインに由来し、第二のドメインがN-末端ドメインに由来し、ハイブリッドメガヌクレアーゼがDNA切断を起こし得る、ハイブリッドメガヌクレアーゼ。

【請求項22】

N-末端からC-末端の方向に該第一および第二のドメインを含み、第一および第二のドメインが同じモノ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼに由来し、単鎖メガヌクレアーゼがDNA切断を起こし得る、単鎖メガヌクレアーゼ。

【請求項23】

モノ-ドデカペプチドメガヌクレアーゼがI-Creである、請求項22に記載の単鎖メガヌクレアーゼ。

【請求項24】

単鎖メガヌクレアーゼが、配列番号6の配列を含む、請求項23に記載の単鎖メガヌクレアーゼ。

【請求項25】

請求項1～24のいずれか1つに記載のメガヌクレアーゼをエンコードする精製または組換えポリヌクレオチド。

【請求項26】

請求項1～24のいずれか1項に記載のメガヌクレアーゼについてのハイブリッド標的部位および切断部位を含む、精製または組換えポリヌクレオチド。

【請求項27】

部位が、当初のドデカペプチドメガヌクレアーゼの2つの半分の部位を含む、請求項26に記載のポリヌクレオチド。

【請求項28】

請求項25～27のいずれか1つに記載のポリヌクレオチドを含むベクター。

【請求項29】

請求項25～27のいずれか1つに記載のポリヌクレオチド、請求項28に記載のベクターまたは請求項1～24のいずれか1つに記載のメガヌクレアーゼを含む宿主細胞。

【請求項30】

分子生物学的道具としての、請求項25～27のいずれか1つに記載のポリヌクレオチド、請求項28に記載のベクターまたは請求項1～24のいずれか1つに記載のメガヌクレアーゼの

使用。

【請求項 3 1】

遺伝子工学のための、請求項25～27のいずれか1つに記載のポリヌクレオチド、請求項28に記載のベクターまたは請求項1～24のいずれか1つに記載のメガヌクレアーゼの使用。

【請求項 3 2】

遺伝子治療のための、請求項25～27のいずれか1つに記載のポリヌクレオチド、請求項28に記載のベクターまたは請求項1～24のいずれか1つに記載のメガヌクレアーゼの使用。

【請求項 3 3】

1) 請求項1～24のいずれか1つに記載の対応するメガヌクレアーゼを用いて、ハイブリッド標的部位を含む標的遺伝子座に二本鎖切断を導入し；そして
2) 標的遺伝子座に、相同配列を側面に有し、導入する配列を含む標的構築物を提供する工程を含む、遺伝子工学の方法。

【請求項 3 4】

標的遺伝子座がゲノム遺伝子座である、請求項33に記載の方法。

【請求項 3 5】

メガヌクレアーゼが、請求項25に記載のポリヌクレオチドを含む発現ベクターによるか、または該メガヌクレアーゼ自身のいずれかにより提供される、請求項33～34のいずれか1つに記載の方法。

【請求項 3 6】

ウイルスゲノムの二本鎖切断が、請求項1～24のいずれか1つに記載のメガヌクレアーゼにより誘導され、かつ該二本鎖切断が、ウイルスゲノムまたはその部分の欠失に導く組換え事象を誘導する、ウイルスゲノムまたはその部分を欠失する方法。

【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】

2005520519000001.app