

【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4年6月24日(2022.6.24)

【国際公開番号】WO2020/005974

【公表番号】特表2021-529519(P2021-529519A)

【公表日】令和3年11月4日(2021.11.4)

【出願番号】特願2020-572414(P2020-572414)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/86(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 35/761(2015.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 38/02(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 27/16(2006.01)

A 6 1 P 27/02(2006.01)

10

20

【F I】

C 1 2 N 15/12 Z N A

C 1 2 N 15/86 Z

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 43/00 1 2 1

A 6 1 K 35/761

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 38/02

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 27/16

A 6 1 P 27/02

30

【手続補正書】

【提出日】令和4年6月16日(2022.6.16)

【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】

単一の核酸ベクターを含む組成物であって、前記ベクターが、C L R N 1タンパク質の第1のアイソフォームをコードする第1のコード配列を含み、

前記第1のコード配列が、C L R N 1ゲノムDNAの2つの連続するエクソンに及び、かつ前記2つの連続するイントロンの間にイントロン配列を欠いているヌクレオチド配列を含み、

哺乳動物の蝸牛に導入されることを特徴とする、前記組成物。

【請求項2】

前記哺乳動物がヒトである、請求項1に記載の組成物。

50

【請求項 3】

前記哺乳動物が、欠陥のある内因性の C L R N 1 遺伝子を有すると以前に特定されている、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

単一の核酸ベクターを含む組成物であって、前記ベクターが：

C L R N 1 タンパク質の第 1 のアイソフォームをコードする第 1 のコード配列を含み、前記第 1 のコード配列が、C L R N 1 ゲノム DNA の 2 つの連続するエクソンに及び、かつ前記 2 つの連続するイントロンの間にイントロン配列を欠いているヌクレオチド配列を含む、前記組成物。

【請求項 5】

前記 C L R N 1 タンパク質の前記第 1 のアイソフォームが、配列番号 3 と少なくとも 9 5 % 同一である配列を含む、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 6】

前記 C L R N 1 タンパク質の前記第 1 のアイソフォームが、配列番号 3 を含む、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 7】

前記単一の核酸ベクターが、5' 非翻訳領域 (U T R)、3' U T R、または両方をさらに含む、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 8】

前記 5' U T R が、配列番号 12 からの少なくとも 1 0 個の連続ヌクレオチドを含む、請求項 7 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記 5' U T R が、配列番号 12 からの少なくとも 2 0 個の連続ヌクレオチドを含む、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 1 0】

前記単一の核酸ベクターが、プラスミド、トランスポゾン、コスミド、人工染色体、またはウイルスベクターである、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 1 1】

前記単一の核酸ベクターが、ヒト人工染色体 (H A C)、酵母人工染色体 (Y A C)、細菌人工染色体 (B A C)、または P 1 由来人工染色体 (P A C) である、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 1 2】

前記単一の核酸ベクターが、アデノ随伴ウイルス (A A V) ベクター、アデノウイルスベクター、レンチウイルスベクター、またはレトロウイルスベクターから選択されるウイルスベクターである、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 1 3】

前記単一の核酸ベクターが、A A V ベクターである、請求項 1 2 に記載の組成物。

【請求項 1 4】

前記単一の核酸ベクターが、プロモーター及びコザック配列のうち的一方または両方をさらに含む、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 1 5】

前記単一の核酸ベクターが、誘導性プロモーター、構成的プロモーター、または組織特異的プロモーターであるプロモーターを含む、請求項 1 4 に記載の組成物。

【請求項 1 6】

前記単一の核酸ベクターが、ポリアデニル化シグナル配列をさらに含む、請求項 1 4 に記載の組成物。

【請求項 1 7】

薬学的に許容される賦形剤をさらに含む、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 1 8】

請求項 4 に記載の組成物を含むキット。

10

20

30

40

50

【請求項 19】

哺乳類細胞において完全長CLR N1タンパク質の発現を増加させるための、請求項4に記載の組成物であって、前記哺乳類細胞に導入されることを特徴とする、前記組成物。

【請求項 20】

哺乳動物の蝸牛内の内有毛細胞、外有毛細胞、または両方において完全長CLR N1タンパク質の発現を増加させるための、請求項4に記載の組成物であって、前記哺乳動物の前記蝸牛に導入されることを特徴とする、前記組成物。

【請求項 21】

哺乳動物の眼において完全長CLR N1タンパク質の発現を増加させるための、請求項4に記載の組成物であって、
前記哺乳動物の前記眼に眼内投与されることを特徴とする、前記組成物。

10

【請求項 22】

欠陥のあるCLR N1遺伝子を有すると特定された対象において聴力喪失を治療するための、請求項4に記載の組成物であって、
前記対象の前記蝸牛に投与されることを特徴とする、前記組成物。

【請求項 23】

欠陥のあるCLR N1遺伝子を有すると特定された対象において視力喪失を治療するための、請求項4に記載の組成物であって、
前記対象の前記眼に投与されることを特徴とする、前記組成物。

20

30

40

50