

【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3年7月26日(2021.7.26)

【公表番号】特表2020-522244(P2020-522244A)

【公表日】令和2年7月30日(2020.7.30)

【年通号数】公開・登録公報2020-030

【出願番号】特願2019-565348(P2019-565348)

【国際特許分類】

| | | |
|---------|-------|-----------|
| C 1 2 N | 15/56 | (2006.01) |
| C 0 7 H | 21/00 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 48/00 | (2006.01) |
| A 6 1 P | 3/10 | (2006.01) |
| A 6 1 P | 43/00 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 9/127 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 9/51 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 47/24 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/54 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/85 | (2006.01) |

【F I】

| | | |
|---------|-------|-------|
| C 1 2 N | 15/56 | |
| C 0 7 H | 21/00 | Z N A |
| A 6 1 K | 48/00 | |
| A 6 1 P | 3/10 | |
| A 6 1 P | 43/00 | 1 1 1 |
| A 6 1 K | 9/127 | |
| A 6 1 K | 9/51 | |
| A 6 1 K | 47/24 | |
| C 1 2 N | 15/54 | |
| C 1 2 N | 15/85 | Z |

【手続補正書】

【提出日】令和3年5月26日(2021.5.26)

【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】

配列番号2のヒトアミロ-アルファ-1, 6-グルコシダーゼ、4-アルファ-グルカノトランスフェラーゼ(hAGL)をコードする核酸塩基配列を含むポリヌクレオチドであって、hAGLをコードする核酸塩基配列が、配列番号7~21、及び配列番号41~45から選択される配列と少なくとも99%同一である、前記ポリヌクレオチド。

【請求項2】

hAGLをコードする核酸塩基配列が、配列番号41と少なくとも99%同一である、請求項1に記載のポリヌクレオチド。

【請求項3】

少なくとも1つのウリジン残基が、N¹メチルブソイドウリジンで置換される、請求項1又は2に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 4】

全てのウリジン残基が、N¹メチルプソイドウリジンで置換される、請求項 1 又は 2 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 5】

5' キャップを含む、請求項 1 ~ 4 のいずれかに記載のポリヌクレオチド。

【請求項 6】

5' 非翻訳領域 (5' UTR) を含む、請求項 1 ~ 5 のいずれかに記載のポリヌクレオチド。

【請求項 7】

5' UTR が、タバコエッチウイルス (TEV) に由来する、請求項 6 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 8】

5' UTR が、配列番号 3 を含む、請求項 6 又は 7 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 9】

3' 非翻訳領域 (3' UTR) を含む、請求項 1 ~ 8 のいずれかに記載のポリヌクレオチド。

【請求項 10】

3' UTR が、アフリカツメガエルベータグロビンに由来する、請求項 9 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 11】

3' UTR が、配列番号 5 を含む、請求項 9 又は 10 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 12】

3' ポリAテールを含む、請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のポリヌクレオチド。

【請求項 13】

3' ポリAテールが、60 ~ 220 個のアデノシンヌクレオチド長である、請求項 12 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 14】

3' ポリAテールが、約 100 個のヌクレオチド長である、請求項 13 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 15】

請求項 1 ~ 14 のいずれかに記載の 1 又は 2 以上のポリヌクレオチドと、薬学的に許容される担体とを含む組成物。

【請求項 16】

担体が、トランスフェクション試薬、ナノ粒子、及びリポソームから選択される、請求項 15 に記載の組成物。

【請求項 17】

担体が、ナノ粒子である、請求項 16 に記載の組成物。

【請求項 18】

ナノ粒子が、ATX-002、ATX-081、ATX-095 及び ATX-126 から選択される、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 19】

請求項 15 ~ 18 のいずれかに記載の組成物を含む、hAGL の活性低下に関連する疾患若しくは障害の改善剤、予防剤、発症遅延剤、又は治療剤。

【請求項 20】

疾患が糖原病 III型である、請求項 19 に記載の剤。