

【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 (h A G L) 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、h A G L をコードする核酸塩基配列が、配列番号 7 ~ 2 1、及び配列番号 4 1 ~ 4 5 から選択される配列と少なくとも 9 9 % 同一である、前記ポリヌクレオチド。

【請求項 2】

h A G L をコードする核酸塩基配列が、配列番号 4 1 と少なくとも 9 9 % 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 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、及びリボ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。