

【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2年7月9日(2020.7.9)

【公表番号】特表2019-517268(P2019-517268A)

【公表日】令和1年6月24日(2019.6.24)

【年通号数】公開・登録公報2019-024

【出願番号】特願2018-564259(P2018-564259)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/113	(2010.01)
C 1 2 N	15/09	(2006.01)
C 4 0 B	10/00	(2006.01)
C 1 2 M	1/00	(2006.01)
C 1 2 Q	1/6837	(2018.01)
C 1 2 Q	1/6834	(2018.01)

【F I】

C 1 2 N	15/113	Z N A Z
C 1 2 N	15/09	1 1 0
C 4 0 B	10/00	
C 1 2 M	1/00	A
C 1 2 Q	1/6837	Z
C 1 2 Q	1/6834	Z

【手続補正書】

【提出日】令和2年6月1日(2020.6.1)

【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】

(a) (i) P A M 部位に隣接する標的配列を含む標的ポリヌクレオチドとハイブリダイズすることができるガイド配列、(ii) ステム配列を含む c r R N A セグメントと、

(b) 前記ステム配列に部分的または完全に相補的であるヌクレオチド配列を含む t r a c r R N A セグメントと

を含む合成ガイドR N A であって、

前記ガイド配列が、20-Nヌクレオチドからなり、Nが、-10から6の間の整数であり、

前記ガイド配列が、前記ガイド配列の4-N、5-N、7-N、9-N、10-N、11-N、12-N、13-N、14-Nまたは15-Nの位置に位置する少なくとも1つの修飾を含む、合成ガイドR N A。

【請求項2】

单一ガイドR N A (s g R N A) である、請求項1に記載の合成ガイドR N A。

【請求項3】

P A M 部位に隣接する標的配列を含む標的ポリヌクレオチドとハイブリダイズすることができるガイド配列を含む合成c r R N A であって、前記ガイド配列が、20-Nヌクレオチドからなり、Nが、-10から6の間の整数であり、前記ガイド配列が、前記ガイド配列の4-N、5-N、7-N、9-N、10-N、11-N、12-N、13-N、14-Nまたは15-Nの位置に位置する少なくとも1つの修飾を含む、合成c r R N A。

【請求項 4】

前記少なくとも1つの修飾が、前記ガイド配列の位置5'-Nもしくは11'-N、またはそれらの組合せに位置する、請求項1~3のいずれか1項に記載の合成ガイドRNAまたはc_rRNA。

【請求項 5】

前記少なくとも1つの修飾が、ホスホノカルボン酸ヌクレオチド間連結、チオホスホノカルボン酸ヌクレオチド間連結、修飾された塩基、およびC3'-エンド糖パッカー構成を付与する2'修飾、またはそれらの組合せから選択される、請求項1~4のいずれか1項に記載の合成ガイドRNAまたはc_rRNA。

【請求項 6】

前記2'修飾が、2'-O-メチル、2'-フルオロ、および2'-O-(2-メトキシエチル)から選択される、請求項5に記載の合成ガイドRNAまたはc_rRNA。

【請求項 7】

前記少なくとも1つの修飾が、2'-デオキシ-3'-ホスホ酢酸(DP)、2'-O-デオキシ-3'-チオホスホ酢酸(DSP)、2'-O-メチル-3'-ホスホ酢酸(MP)および2'-O-メチル-3'-チオホスホ酢酸(MSP)から選択される、請求項1~6のいずれか1項に記載の合成ガイドRNAまたはc_rRNA。

【請求項 8】

前記ガイドRNAまたはc_rRNAの5'末端、3'末端または両末端に1つまたは複数の修飾をさらに含む、請求項1~7のいずれか1項に記載の合成ガイドRNAまたはc_rRNA。

【請求項 9】

前記標的ポリヌクレオチドが、HBB遺伝子、IL2RG遺伝子、またはVEGFA遺伝子内に位置する、請求項1~8のいずれか1項に記載の合成ガイドRNAまたはc_rRNA。

【請求項 10】

C_RI_SP_R機能の特異性を増強する方法であって、

標的ポリヌクレオチドを選択するステップと；

請求項1~9のいずれか1項に記載の少なくとも1つの合成ガイドRNAを用意するステップと；

C_asタンパク質と前記合成ガイドRNAとを含むgRNA:C_asタンパク質複合体を形成するステップと；

前記gRNAの前記標的ポリヌクレオチドとのハイブリダイゼーション、およびC_RI_SP_R機能の遂行をもたらすための条件下で、前記標的ポリヌクレオチドを前記gRNA:C_asタンパク質複合体と接触させるステップと
を含み、

前記C_asタンパク質が、タンパク質として、または前記C_asタンパク質をコードするポリヌクレオチドとして用意される、方法。

【請求項 11】

前記ポリヌクレオチド標的の前記gRNA:C_asタンパク質複合体との前記接触が、細胞内で実施され、前記複合体の前記形成が、細胞外または内で実施される、請求項10に記載の方法。