

【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5年1月25日(2023.1.25)

【公開番号】特開2022-78208(P2022-78208A)

【公開日】令和4年5月24日(2022.5.24)

【年通号数】公開公報(特許)2022-091

【出願番号】特願2022-33576(P2022-33576)

【国際特許分類】

C 12 N 15/864 (2006.01)

10

C 12 N 7/01 (2006.01)

A 61 K 35/76 (2015.01)

A 61 K 48/00 (2006.01)

A 61 K 45/00 (2006.01)

A 61 K 38/17 (2006.01)

A 61 K 9/10 (2006.01)

A 61 P 21/00 (2006.01)

A 61 P 43/00 (2006.01)

【F I】

C 12 N 15/864 1 0 0 Z

20

C 12 N 7/01 Z N A

A 61 K 35/76

A 61 K 48/00

A 61 K 45/00

A 61 K 38/17

A 61 K 9/10

A 61 P 21/00

A 61 P 43/00 1 2 1

【手続補正書】

30

【提出日】令和5年1月17日(2023.1.17)

【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) AA V 5' 末端逆位反復 (ITR)、発現制御配列に機能可能に繋げられた SMN1タンパク質をコードする核酸配列、及び AA V 3' ITR を含む、ベクターゲノムを含む核酸配列；

40

(b) 配列番号8をコードする AA V h u 6 8 カプシド核酸配列 (AA V h u 6 8 V P 1)；

(c) AA V rep タンパク質をコードする核酸配列；及び

(d) ベクターゲノムの複製およびベクターゲノムの AA V h u 6 8 カプシド中へのパッケージングを可能にするヘルパー機能、を含む宿主細胞。

【請求項2】

SMN1タンパク質をコードする核酸配列が、

(i) 配列番号1か、又は配列番号2のアミノ酸配列の SMN1タンパク質アイソフォ

50

ーム D タンパク質をコードする配列番号 1 と少なくとも 70 % 同一である配列；

(i i) 配列番号 3；

(i i i) 配列番号 4；

(i v) 配列番号 5、又は

(v) 配列番号 6、

から選択される、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 3】

発現制御配列 (a) が、エンハンサー、プロモーター、イントロン、コザック配列、ポリ A、又は翻訳後調節要素の 1 以上を更に含む、請求項 1 に記載の宿主細胞。

10

【請求項 4】

プラスミドが (a) の核酸配列を含む、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 5】

プラスミドが (b) 及び (c) の核酸配列を含む、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 6】

配列番号 8 をコードする核酸配列が、配列番号 7 であるか又はそれと 70 % 同一の配列である、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 7】

宿主細胞が培養物中にある、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 8】

宿主細胞が懸濁液中にある、請求項 1 に記載の宿主細胞。

20

【請求項 9】

宿主細胞が哺乳動物細胞である、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 10】

宿主細胞が H E K 2 9 3 細胞である、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 11】

宿主細胞が昆虫細胞である、請求項 1 に記載の宿主細胞。

【請求項 12】

請求項 1 ~ 1 1 のいずれか 1 に記載の宿主細胞を用いて產生される、S M N 1 コード配列を含むベクターゲノムを含む組換えアデノ随伴ウイルス (r A A V) h u 6 8 ベクター。

30

【請求項 13】

ベクターゲノムが、5' A A V I T R 、サイトメガロウイルス即時早期エンハンサー、
ヒニワトリベータアクチンプロモーター、イントロン、ポリ A、及び 3' A A V I T R
を含む、請求項 1 1 に記載の r A A V 。

【請求項 14】

ベクターゲノムが配列番号 1 5 又は配列番号 2 5 の配列を有する、請求項 1 1 に記載の r
A A V 。

【請求項 15】

A A V h u 6 8 が、配列番号 7 又はそれと 99 % 同一である配列を用いて產生される、
請求項 1 1 ~ 1 3 のいずれか 1 に記載の r A A V 。

40

50