

【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 1 2 N 15/864 (2006.01)

10

C 1 2 N 7/01 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 K 38/17 (2006.01)

A 6 1 K 9/10 (2006.01)

A 6 1 P 21/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

20

C 1 2 N 7/01 Z N A

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 38/17

A 6 1 K 9/10

A 6 1 P 21/00

A 6 1 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) A A V 5' 末端逆位反復 (I T R)、発現制御配列に機能可能に繋がられた S M N 1 タンパク質をコードする核酸配列、及び A A V 3' I T R 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 A A V h u 6 8 カプシド核酸配列 (A A V h u 6 8 V P 1)；

(c) A A V r e p 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 A A 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】

S M N 1 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 S M N 1 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。

【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。

【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HEK293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1～11のいずれか1に記載の宿主細胞を用いて産生される、SMN1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。

【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、と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11に記載のr A A V。

【請求項14】

ベクターゲノムが配列番号15又は配列番号25の配列を有する、請求項11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産生される、請求項11～13のいずれか1に記載のr A A V。

10

20

30

40

50