

【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7年3月17日(2025.3.17)

【公開番号】特開2024-83479(P2024-83479A)

【公開日】令和6年6月21日(2024.6.21)

【年通号数】公開公報(特許)2024-115

【出願番号】特願2024-61564(P2024-61564)

【国際特許分類】

C 12N 15/62(2006.01)

10

C 12N 9/10(2006.01)

C 12N 15/09(2006.01)

C 12N 15/63(2006.01)

C 12N 15/54(2006.01)

C 12N 15/55(2006.01)

C 12N 1/15(2006.01)

C 12N 1/19(2006.01)

C 12N 1/21(2006.01)

C 12N 5/10(2006.01)

C 12N 9/22(2006.01)

20

【F I】

C 12N 15/62 Z

C 12N 9/10 Z N A

C 12N 15/09 1 1 0

C 12N 15/63 Z

C 12N 15/54

C 12N 15/55

C 12N 1/15

C 12N 1/19

C 12N 1/21

C 12N 5/10

C 12N 9/22

30

【手続補正書】

【提出日】令和7年3月3日(2025.3.3)

【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】

40

【特許請求の範囲】

【請求項1】

2つの異種のポリペプチドドメインを含む融合タンパク質であって、第1のポリペプチドドメインは、クラスター化して規則的な配置の短い回文配列リピート関連(Cas)タンパク質を含み、第2のポリペプチドドメインは、p300ヒストンアセチル化酵素エフェクタードメインを含み、かつ前記融合タンパク質は、配列番号141のアミノ酸配列を含む、融合タンパク質。

【請求項2】

2つの異種のポリペプチドドメインを含む融合タンパク質であって、

第1のポリペプチドドメインは、クラスター化して規則的な配置の短い回文配列リピート関連(Cas)タンパク質を含み、第2のポリペプチドドメインは、p300ヒストンアセチル化酵素エフェクタードメインを含み、かつ前記融合タンパク質は、配列番号141のアミノ酸配列を含む、融合タンパク質。

50

ト関連 (C a s) タンパク質を含み、

第 2 のポリペプチドドメインは、p 3 0 0 ヒストンアセチル化酵素エフェクタードメインを含み、

前記第 1 のポリペプチドドメインは配列番号 1 のポリペプチド配列を含み、かつ前記第 2 のポリペプチドドメインは配列番号 3 のポリペプチド配列を含む、融合タンパク質。

【請求項 3】

前記第 1 のポリペプチドドメインを前記第 2 のポリペプチドドメインと連結させるリンクをさらに含む、請求項 2 に記載の融合タンパク質。

【請求項 4】

標的遺伝子の転写を活性化する、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の融合タンパク質。
10

【請求項 5】

請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の融合タンパク質をコードする単離されたポリヌクレオチド。

【請求項 6】

請求項 5 に記載の単離されたポリヌクレオチドを含むベクター。

【請求項 7】

請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の融合タンパク質と、少なくとも 1 つのガイド R N A (g R N A) とを含む、D N A ターゲティング系。

【請求項 8】

前記少なくとも 1 つの g R N A が、標的領域を標的にし、前記標的領域が、標的遺伝子のエンハンサー領域、標的遺伝子のプロモーター領域、標的遺伝子の調節エレメント、標的遺伝子のシス調節領域、または標的遺伝子のトランス調節領域を含む、請求項 7 に記載の D N A ターゲティング系。
20

【請求項 9】

前記標的領域が、標的遺伝子の遠位または近位のシス調節領域である、請求項 8 に記載の D N A ターゲティング系。

【請求項 10】

請求項 7 ~ 9 のいずれか一項に記載の D N A ターゲティング系をコードする単離されたポリヌクレオチド。
30

【請求項 11】

請求項 10 に記載の単離されたポリヌクレオチドを含むベクター。

【請求項 12】

請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の融合タンパク質、または請求項 7 ~ 9 のいずれか一項に記載の D N A ターゲティング系をコードするポリヌクレオチドを含む、細胞における標的遺伝子の遺伝子発現を活性化するための組成物。

【請求項 13】

2 つ以上の標的遺伝子の発現が、活性化される、請求項 12 に記載の組成物。
40