

【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12月18日(2023.12.18)

【公開番号】特開2023-68051(P2023-68051A)

【公開日】令和5年5月16日(2023.5.16)

【年通号数】公開公報(特許)2023-089

【出願番号】特願2023-43194(P2023-43194)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/867(2006.01)

C 1 2 N 15/53(2006.01)

C 1 2 N 7/01(2006.01)

C 1 2 N 15/113(2010.01)

A 6 1 P 13/02(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 38/02(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/867 Z Z N A

C 1 2 N 15/53

C 1 2 N 7/01

C 1 2 N 15/113 1 3 0 Z

A 6 1 P 13/02

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 38/02

20

【手続補正書】

【提出日】令和5年12月8日(2023.12.8)

【手続補正1】

30

【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】

フェニルケトン尿症(PKU)を処置するための医薬組成物であって、レンチウイルス粒子を含み、前記レンチウイルス粒子が、

a) 標的細胞に感染できるエンベロープタンパク質; および

b) ウイルスベクターであって、

i) フェニルアラニンヒドロキシラーゼ(PAH)酵素を発現させるためのPAHをコードするヌクレオチドであって、切断型3' UTRを含む、PAHをコードするヌクレオチドと;

ii) 少なくとも1つの予め定められた相補的PAH mRNAに結合できる少なくとも1つのスモールRNAをコードするヌクレオチドと

を含む、ウイルスベクター

を含み、

前記ヌクレオチドによってコードされる前記少なくとも1つのスモールRNAが、前記切断型3' UTRを含む少なくとも1つの予め定められた相補的PAH mRNAに結合しない、

40

50

医薬組成物。

【請求項 2】

前記少なくとも 1 つの予め定められた相補的 P A H m R N A が完全な P A H 3 ' U T R を含む、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

前記少なくとも 1 つのスモール R N A をコードするヌクレオチドが、第 1 のプロモーターの制御下にある、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

前記 P A H をコードするヌクレオチドが、第 2 のプロモーターの制御下にある、請求項 1 に記載の医薬組成物。

10

【請求項 5】

前記第 1 のプロモーターが H 1 プロモーターを含む、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

前記第 2 のプロモーターが肝臓特異的プロモーターを含む、請求項 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

前記肝臓特異的プロモーターが h A A T プロモーターを含む、請求項 6 に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

前記 P A H をコードするヌクレオチドの配列が、配列番号 1 または配列番号 2 のうちの少なくとも 1 つと、80%、85%、90%、95% または 100% の同一性のうちの少なくとも 1 つを有する配列を含む、請求項 1 に記載の医薬組成物。

20

【請求項 9】

前記 P A H をコードするヌクレオチドの配列が、配列番号 1 または配列番号 2 を含む、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

前記切断型配列が、配列番号 3 または配列番号 4 を含む、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

前記切断型配列が、配列番号 3 または配列番号 4 のうちの少なくとも 1 つと、80%、85%、90%、95% または 100% の同一性のうちの少なくとも 1 つを有する配列を含む、請求項 10 に記載の医薬組成物。

30

【請求項 12】

前記少なくとも 1 つのスモール R N A をコードするヌクレオチドが、配列番号 5 または配列番号 6 のうちの少なくとも 1 つと、80%、85%、90%、95% または 100% の同一性のうちの少なくとも 1 つを有する配列を含む、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 13】

前記少なくとも 1 つのスモール R N A をコードするヌクレオチドが、配列番号 5 または配列番号 6 を含む、請求項 12 に記載の医薬組成物。

【請求項 14】

前記標的細胞が、肝細胞、筋肉細胞、上皮細胞、内皮細胞、神経細胞、神経内分泌細胞、内分泌細胞、リンパ球、骨髄細胞、実質臓器内に存在する細胞、造血系列の細胞、造血幹細胞、もしくは前駆造血幹細胞のうちの少なくとも 1 つである、請求項 1 に記載の医薬組成物。

40

【請求項 15】

前記標的細胞が肝細胞である、請求項 14 に記載の医薬組成物。