

【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5月30日(2025.5.30)

【公開番号】特開2025-16451(P2025-16451A)

【公開日】令和7年2月4日(2025.2.4)

【年通号数】公開公報(特許)2025-021

【出願番号】特願2024-168632(P2024-168632)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

C 1 2 N 15/86(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

A 6 1 K 31/7105(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 27/02(2006.01)

A 6 1 K 9/08(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z

C 1 2 N 15/63 Z Z N A

C 1 2 N 15/86 Z

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 27/02

A 6 1 K 9/08

C 1 2 N 15/63 Z

20

30

【手続補正書】

【提出日】令和7年5月1日(2025.5.1)

【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) 配列 G U G G C A U U C U A C A U C U U C A (配列番号7) のセンス鎖および配列 U G A A G A U G U A G A A U G C C A C (配列番号8) のアンチセンス鎖を含む合成リボ核酸(RNA)分子をコードする第1の核酸配列、および、
b) 当該合成RNA分子が標的とする配列を含有しない組換えRHO遺伝子を含む第2の核酸配列、
を含むベクター。

40

【請求項2】

合成RNA分子が、配列 U C A A G A G (配列番号9) または配列 U G U G C U U (配列番号10) を含むループをさらに含む、請求項1に記載のベクター。

【請求項3】

合成RNA分子が、低分子干渉RNA(sirna)である、請求項1または2に記載の

50

ベクター。

【請求項 4】

合成 RNA 分子が、低分子ヘアピン型 RNA (s h RNA) である、請求項 1 または 2 に記載のベクター。

【請求項 5】

合成 RNA 分子が、人工マイクロ RNA (m i RNA) である、請求項 1 または 2 に記載のベクター。

【請求項 6】

合成 RNA 分子が、配列 U G C U G U U G A C A G U G A G C G A (X)_n U A G U G A A G C C A C A G A U G U A (Y)_n C U G C C U A C U G C C U C G G A (配列番号 1 9) を含み、(X)_n が配列番号 7 を含み、(Y)_n が配列番号 8 を含む、請求項 1 または 5 に記載のベクター。 10

【請求項 7】

合成 RNA 分子および組換え r h o 遺伝子が両方とも、単一のプロモーター配列の発現制御下にある、請求項 1 ~ 6 のいずれかに記載のベクター。

【請求項 8】

合成 RNA 分子および組換え r h o 遺伝子がそれぞれ、別のプロモーター配列の発現制御下にある、請求項 1 ~ 6 のいずれかに記載のベクター。

【請求項 9】

合成 RNA 分子が s h RNA であり、s h RNA が RNA ポリメラーゼ I I I プロモーターの発現制御下にある、請求項 8 に記載のベクター。 20

【請求項 10】

合成 RNA 分子が人工 m i RNA であり、人工 m i RNA が RNA ポリメラーゼ I I プロモーターの発現制御下にある、請求項 8 に記載のベクター。

【請求項 11】

組換え R H O 遺伝子が構成的プロモーターまたは誘導性プロモーターの発現制御下にある、請求項 8 ~ 10 のいずれかに記載のベクター。

【請求項 12】

組換え R H O 遺伝子が配列番号 4 2 のヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 11 のいずれかに記載のベクター。 30

【請求項 13】

合成 RNA 分子が、さらに 5' 末端または 3' 末端に不対合突出配列を含む、請求項 1 1 ~ 12 のいずれか一項に記載のベクター。

【請求項 14】

不対合突出配列が反復塩基配列を含む、請求項 1 3 に記載のベクター。

【請求項 15】

反復塩基配列が反復ウラシル (U) 塩基を含む、請求項 1 4 に記載のベクター。

【請求項 16】

不対合突出配列が U U である、請求項 1 4 または 1 5 に記載のベクター。

【請求項 17】

ベクターが発現プラスミドである、請求項 1 ~ 1 6 のいずれか一項に記載のベクター。 40

【請求項 18】

ベクターがウイルスベクターである、請求項 1 ~ 1 6 のいずれか一項に記載のベクター。

【請求項 19】

ウイルスベクターがアデノ随伴ウイルス (A A V) ベクターである、請求項 1 8 に記載のベクター。

【請求項 20】

A A V ベクターが、A A V 2、A A V 2 / 1、A A V 2 / 5、A A V 2 / 8 または A A V 2 / 9 ベクターである、請求項 1 9 に記載のベクター。 50

【請求項 2 1】

請求項 1 ~ 2 0 のいずれか一項に記載のベクターを含む組成物。

【請求項 2 2】

さらに 1 つ以上の生理学的に許容される担体または 1 つ以上の生理学的に許容されるアジュバントを含む、請求項 2 1 に記載の組成物。

【請求項 2 3】

対象における R H O 発現を低減させるための、請求項 2 1 または 2 2 に記載の組成物。

【請求項 2 4】

対象における網膜色素変性 (R P) を治療するための、請求項 2 1 または 2 2 に記載の組成物。

10

【請求項 2 5】

R P を治療することが、R H O 遺伝子の一方または両方の対立遺伝子をサイレンシングすることを含む、請求項 2 4 に記載の組成物。

【請求項 2 6】

網膜色素変性 (R P) を治療するため医薬の製造における、請求項 1 ~ 2 0 のいずれか一項に記載のベクターまたは請求項 2 1 または 2 2 に記載の組成物の使用。

【請求項 2 7】

R P を治療することが、R H O 遺伝子の一方または両方の対立遺伝子をサイレンシングすることを含む、請求項 2 6 に記載の使用。

20

【請求項 2 8】

R P が常染色体優性網膜色素変性 (a d R P) である、請求項 2 4 または 2 5 に記載の組成物または請求項 2 6 または 2 7 に記載の使用。

30

40

50