

【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3年3月25日(2021.3.25)

【公表番号】特表2020-506714(P2020-506714A)

【公表日】令和2年3月5日(2020.3.5)

【年通号数】公開・登録公報2020-009

【出願番号】特願2019-542703(P2019-542703)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/62	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
C 1 2 N	15/55	(2006.01)
C 1 2 N	15/12	(2006.01)
C 1 2 N	15/63	(2006.01)
C 1 2 N	15/867	(2006.01)
C 1 2 N	5/0775	(2010.01)
C 1 2 N	9/16	(2006.01)
C 0 7 K	14/775	(2006.01)

【F I】

C 1 2 N	15/62	Z
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 K	31/7088	Z N A
C 1 2 N	15/55	
C 1 2 N	15/12	
C 1 2 N	15/63	Z
C 1 2 N	15/867	Z
C 1 2 N	5/0775	
C 1 2 N	9/16	Z
C 0 7 K	14/775	

【手続補正書】

【提出日】令和3年2月8日(2021.2.8)

【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】

イズロン酸-2-スルファターゼ(IDS)遺伝子配列と、アポリポタンパク質E(ApoEII)遺伝子配列の反復とを含む、核酸。

【請求項2】

前記IDS配列と前記ApoEII配列との間に位置する介在リンカー配列をさらに含む、請求項1に記載の核酸。

【請求項3】

前記IDS配列は野生型IDS配列のコドン最適化配列を含む、請求項1または2に記載の核酸。

【請求項4】

前記ApoEII配列の前記反復は縦列反復の形である、請求項1～3のいずれか一項

に記載の核酸。

【請求項 5】

前記 I D S 配列は、配列番号 1 もしくは配列番号 2 による配列、またはその少なくとも 90 % の相同性を有する誘導体配列を含む、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の核酸。

【請求項 6】

前記 A p o E I I 配列は、配列番号 3 による配列、またはその少なくとも 95 % の相同性を有する誘導体配列による配列を含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の核酸。

【請求項 7】

介在リンカー配列は、配列番号 4 による配列、またはその少なくとも 95 % の相同性を有する誘導体配列を含む、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の核酸。

【請求項 8】

前記核酸は遺伝子治療ベクターに組み込まれる、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の核酸。

【請求項 9】

前記ベクターはレンチウイルスベクターである、請求項 8 に記載の核酸。

【請求項 10】

前記核酸は、1つまたはそれ以上の造血幹細胞および前駆細胞 (HSPC) に形質導入される、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の核酸。

【請求項 11】

イズロン酸 - 2 - スルファターゼ (IDS) 欠損に起因し得る疾患または状態の処置、管理、進行の遅延、または発達の正常化に用いるための、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載の核酸。

【請求項 12】

前記疾患または状態は、ムコ多糖症 II 型 (MPS II) またはハンター症候群を含む、請求項 11 に記載の核酸。

【請求項 13】

a) イズロン酸 - 2 - スルファターゼ (IDS) を含む第 1 の部分と、  
b) アポリポタンパク質 E (ApoEII) の反復を含む第 2 の部分とを含む、組成物。

【請求項 14】

前記アポリポタンパク質 ApoEII の反復は縦列反復の形である、請求項 13 に記載の組成物。

【請求項 15】

前記第 1 および第 2 の部分は、それらの間に位置する介在リンカー部分を有する、請求項 13 または 14 に記載の組成物。

【請求項 16】

a) 前記第 1 の部分のアミノ酸配列は、配列番号 5 による配列、またはその少なくとも 90 % の相同性を有する誘導体配列を含む、および / または、  
b) 前記第 2 の部分のアミノ酸配列は、配列番号 7 による配列、またはその少なくとも 95 % の相同性を有する誘導体配列の配列を含む、および / または、  
c) 前記介在リンカー部分のアミノ酸配列は、配列番号 8 による配列、またはその少なくとも 95 % の相同性を有する誘導体配列を含む、

請求項 15 に記載の組成物。

【請求項 17】

イズロン酸 - 2 - スルファターゼ (IDS) 欠損に起因し得る疾患または状態の処置、管理、進行の遅延、または発達の正常化に用いるための、請求項 13 ~ 16 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 18】

前記疾患または状態は、ムコ多糖症 II 型 (MPS II) またはハンター症候群を含む、請求項 17 に記載の組成物。

**【請求項 19】**

個体におけるイズロン酸 - 2 - スルファターゼ ( I D S ) 欠損および / またはムコ多糖症 I I 型 ( M P S I I ) の処置、管理、進行の遅延、または発達の正常化に用いるための造血幹細胞および前駆細胞 ( H S P C ) であって、前記 H S P C は患者から除去され、請求項 1 ~ 1 0 のいずれか一項に記載の核酸によってエクスピボで形質導入され、前記形質導入された H S P C は前記個体に投与される、造血幹細胞および前駆細胞 ( H S P C ) 。

**【請求項 20】**

I D S タンパク質の欠損の結果もたらされる状態である個体における血液脳関門を横断して脳に I D S タンパク質を送達するための方法で 使用するための A p o E I I 遺伝子配列の縦列反復につながれた I D S 遺伝子配列を含むウイルスベクター で形質導入された造血幹細胞および前駆細胞 ( H S P C ) の集団を含む医薬組成物あって、前記方法は、形質導入された H S P C を前記個体に投与することを含み、そこで前記形質導入された H S P C は前記血液脳関門を横断するために十分な、より高い生理学的レベルの前記 I D S タンパク質を発現する、医薬組成物。

**【請求項 21】**

ベクターは、前記 I D S タンパク質をコードする遺伝子配列と、前記 A p o E I I 遺伝子配列の前記縦列反復との間に、可動性リンカーに対する配列を含む、請求項 2 0 に記載の医薬組成物。

**【請求項 22】**

前記 A p o E I I 縦列反復遺伝子配列は、配列番号 3 による配列、またはその最大 9 5 % の相同性を有する変異体配列を含む、請求項 2 1 に記載の医薬組成物。

**【請求項 23】**

前記可動性リンカー配列は、配列番号 4 による配列、またはその最大 9 5 % の相同性を有する変異体配列を含む、請求項 2 1 または 2 2 に記載の医薬組成物。

**【請求項 24】**

前記 H S P C は自己のものである、請求項 2 1 ~ 2 3 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

**【請求項 25】**

イズロン酸 - 2 - スルファターゼ ( I D S ) 遺伝子配列およびアポリポタンパク質 E ( A p o E I I ) 遺伝子配列の反復を含む核酸と、1 つまたはそれ以上の造血幹細胞および前駆細胞 ( H S P C ) との組み合わせであって、前記核酸は前記 H S P C に形質導入できる、組み合わせ。