

【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 3 部門第 2 区分

【発行日】平成 29 年 4 月 13 日 (2017.4.13)

【公表番号】特表 2016-514152 (P2016-514152A)

【公表日】平成 28 年 5 月 19 日 (2016.5.19)

【年通号数】公開・登録公報 2016-030

【出願番号】特願 2016-501968 (P2016-501968)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/761 (2015.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 47/42 (2017.01)

A 6 1 K 47/50 (2017.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/28 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 0 7 K 14/015 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 35/761

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 47/42

A 6 1 K 47/48

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 25/28

C 1 2 N 15/00 Z N A A

C 0 7 K 14/015

【手続補正書】

【提出日】平成 29 年 3 月 8 日 (2017.3.8)

【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】

対象の脳への核酸分子の送達に使用するためのアデノ随伴ウイルス ( A A V ) ベクターであって、前記 A A V ベクターは前記核酸分子と、 h u . 3 2 カプシドタンパク質または r h . 8 カプシドタンパク質とを有する、 A A V ベクター。

【請求項 2】

請求項 1 記載の A A V ベクターにおいて、前記カプシドタンパク質は配列 I D 番号 1 または 3 と少なくとも 9 0 % 同一であるアミノ酸配列を有する、 A A V ベクター。

【請求項 3】

請求項 1 記載の A A V ベクターにおいて、前記カプシドタンパク質は配列 I D 番号 1 と少なくとも 9 5 % 同一であるアミノ酸配列を有する、 A A V ベクター。

【請求項 4】

請求項 1 記載の A A V ベクターにおいて、前記カプシドタンパク質は配列 I D 番号 1 を有する、 A A V ベクター。

## 【請求項 5】

請求項 1 記載の A A V ベクター において、前記核酸分子は治療用タンパク質または抑制性核酸分子をコードする、A A V ベクター。

## 【請求項 6】

請求項 1 記載の A A V ベクター において、前記核酸分子は脳内のニューロンに送達される、A A V ベクター。

## 【請求項 7】

対象の脳に影響を及ぼす疾患または障害の治療に使用するためのアデノ随伴ウイルス (A A V) ベクターであって、前記 A A V ベクターは治療用タンパク質または抑制性核酸分子をコードする核酸分子と、h u . 3 2 カプシドタンパク質または r h . 8 カプシドタンパク質とを有する、A A V ベクター。

## 【請求項 8】

請求項 7 記載の A A V ベクター において、前記カプシドタンパク質は配列 I D 番号 1 または 3 と少なくとも 9 0 % 同一であるアミノ酸配列を有する、A A V ベクター。

## 【請求項 9】

請求項 7 記載の A A V ベクター において、前記カプシドタンパク質は配列 I D 番号 1 と少なくとも 9 5 % 同一であるアミノ酸配列を有する、A A V ベクター。

## 【請求項 10】

請求項 7 記載の A A V ベクター において、前記カプシドタンパク質は配列 I D 番号 1 を有する、A A V ベクター。

## 【請求項 11】

請求項 7 記載の A A V ベクター において、前記核酸分子は治療用タンパク質をコードする、A A V ベクター。

## 【請求項 12】

請求項 7 記載の A A V ベクター において、前記疾患または障害はリソソーム蓄積症である、A A V ベクター。

## 【請求項 13】

請求項 7 記載の A A V ベクター において、前記疾患または障害は神経変性疾患である、A A V ベクター。

## 【請求項 14】

請求項 7 記載の A A V ベクター において、前記核酸分子は - グルクロニダーゼをコードする、A A V ベクター。

## 【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0006

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0006】

A A V ベクターは非病原性で、コードされた異種遺伝子の長期の発現をもたらすのみならず、それらはまた、中枢神経系 (C N S) の治療に必要な不可欠である、分裂しない細胞を形質導入するという能力を有する。アデノ随伴ウイルス (A A V) ベクターは、拡張性があり、効率的で、遺伝性疾患の治療のために主に用いられる非細胞変性の遺伝子送達ベクターである。実際に、A A V ベクターにより、脳、心臓、肺、目、および肝臓の疾患を含む広範囲のヒト疾患動物モデルの治療に成功した (M i n g o z z i e t a l . ( 2 0 1 1 ) N a t . R e v . G e n e t . , 1 2 : 3 4 1 - 3 5 5 ) 。さらに、例えば、レーバーの先天性黒内障、血友病、鬱血性心不全、リボタンパクリパーゼ欠損症、およびパーキンソン病を含む様々な疾患の治療において、A A V ベクターを用いた多数の臨床試験は、現在肯定的な結果で進行中である (M a g u i r e e t a l . ( 2 0 0 8 ) N e w E n g . J . M e d . , 3 5 8 : 2 2 4 0 - 2 2 4 8 ; B a i n b r i d g e e t a l . ( 2 0 0 8 ) N e w E n g . J . M e d . , 3 5 8 : 2 2 3 1 - 2 2 3 9 ;

Hauswirth et al. (2008) Human Gene Ther., 19: 979 - 990; Nathwani et al. (2011) New Eng. J. Med., 365: 2357 - 2365; Jessup et al. (2011) Circulation 124: 304 - 313; LeWitt et al. (2011) Lancet Neurol., 10: 309 - 319)。様々な障害の治療のためのAAVをベースにした遺伝子治療の見込みがあるにもかかわらず、標的組織への特異的な送達を行う改良されたAAVベクターが望まれる。

この出願の発明に関連する先行技術文献情報としては、以下のものがある（国際出願日以降国際段階で引用された文献及び他国に国内移行した際に引用された文献を含む）。

（先行技術文献）

（特許文献）

（特許文献1） 国際公開第2012/057363号

（特許文献2） 国際公開第2011/143557号

（非特許文献）

（非特許文献1） Cearley, et al. Expanded repertoire of AAV vector serotypes mediate unique patterns of transduction in mouse brain. Mol Ther. 2008, 16(10): 1710 - 8; Abstract, pg 6 [of the posted document], col 2, last para; pg 7, GenBank AY243003

（非特許文献2） GenBank Submission AY243003. Non-human primate Adene-associated virus isolate AAVrh.32 capsid protein (VP1) gene, complete cds. 14 May 2003. [Retrieved from the Internet 14 June 2014: <<http://www.ncbi.nlm.nih.gov/nuccore/AY243003>>]; in entirety

（非特許文献3） Ross, et al. Development of small alginate microcapsules for recombinant gene product delivery to the rodent brain. J Biomater Sci Polym Ed. 2002; 13(8): 953 - 62; pg 954, 2nd para