

【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6年5月15日(2024.5.15)

【国際公開番号】WO2019/237067
 【公表番号】特表2021-526818(P2021-526818A)
 【公表日】令和3年10月11日(2021.10.11)
 【出願番号】特願2020-568431(P2020-568431)
 【国際特許分類】

C 1 2 N 15/864(2006.01)
 C 1 2 N 7/01(2006.01)
 A 6 1 P 9/00(2006.01)
 A 6 1 P 9/04(2006.01)
 A 6 1 P 9/10(2006.01)
 A 6 1 K 35/76(2015.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z
 C 1 2 N 7/01 Z N A
 A 6 1 P 9/00
 A 6 1 P 9/04
 A 6 1 P 9/10
 A 6 1 K 35/76

20

【誤訳訂正書】
 【提出日】令和6年4月8日(2024.4.8)
 【誤訳訂正1】
 【訂正対象書類名】明細書
 【訂正対象項目名】0011
 【訂正方法】変更
 【訂正の内容】

30

【0011】

いくつかの態様において、配列内リボソーム進入部位(IRES)は、2以上の導入遺伝子の間(例として、cS100A1導入遺伝子とcARC導入遺伝子との間)に存在する。いくつかの態様において、S100ファミリータンパク質をコードする導入遺伝子は、アポトーシスインヒビターをコードする導入遺伝子の5'側にある。他の態様において、アポトーシスインヒビターをコードする導入遺伝子は、S100ファミリータンパク質をコードする導入遺伝子の5'側にある。

【誤訳訂正2】
 【訂正対象書類名】明細書
 【訂正対象項目名】0019
 【訂正方法】変更
 【訂正の内容】

40

【0019】

【図1】図1は、例示のAAV構築物の図表を描写する。第一のAAV逆方向末端反復(ITR)は、これに続き心臓トロポニンTプロモーター(cTnT)、次いで種特異的S100カルシウム結合タンパク質A1(cS100A1)についてコドン最適化された配列、これに続き配列内リボソーム進入部位(IRES)、これに続きカスパーゼ動員ドメインを有する種特異的アポトーシスリプレッサー(cARC)についてコドン最適化された配列、これに続きポリアデニル化(PA)配列、および第二のAAV ITRが続く。

【図2】図2は、ベースラインおよび遺伝子送達の数週間後における処置された筋ジスト

50

ロフィーのイヌからの拡張期MRI画像を描写する。データは、拡張期の左心室体積における軽度の減少を有する、安定したまたはわずかに改善した心臓リモデリングを支持する。

【誤訳訂正3】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0055

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0055】

いくつかの態様において、本発明のrAAVベクターは、対象における同時送達および発現のために、cS100A1導入遺伝子およびARC導入遺伝子の両方を含む。よって、いくつかの態様において、rAAVベクターは、導入遺伝子（例として、異種核酸）の発現を容易にする配列（例として、核酸に操作可能に連結された発現制御配列）を含む1以上の領域を含む。無数のかかる配列は、当該技術分野において知られている。発現制御配列の非限定例は、プロモーター、インスレーター、サイレンサー、応答エレメント、イントロン、エンハンサー、開始部位、配列内リボソーム進入部位（IRES）終止シグナル、およびポリ（A）シグナルを包含する。かかる制御配列のいずれかの組み合わせは、本明細書で企図される（例として、プロモーターおよびポリ（A）シグナル）。いくつかの態様において、rAAVベクターは、導入遺伝子のコード配列に操作可能に連結され、および、導入遺伝子の発現を容易にするプロモーターを含む。

10

20

【誤訳訂正4】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0060

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0060】

いくつかの態様において、本発明のrAAVベクターはさらに、配列内リボソーム進入部位（IRES）を含む。IRESは、タンパク質合成のより大きなプロセスの一部として、メッセンジャーRNA（mRNA）配列の中央における翻訳開始を可能にするヌクレオチド配列である。開始複合体のアセンブリのために5'キャップ認識が必要とされるので、大抵、真核生物において、翻訳は、mRNA分子の5'末端のみにおいて開始することができる。いくつかの態様において、IRESは、導入遺伝子の間に位置付けられる。かかる態様において、異なる導入遺伝子によってコードされるタンパク質は、個々に翻訳される（すなわち、融合タンパク質として翻訳されるのに対して）。

30

40

50