

【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19年3月1日(2007.3.1)

【公表番号】特表2006-518372(P2006-518372A)

【公表日】平成18年8月10日(2006.8.10)

【年通号数】公開・登録公報2006-031

【出願番号】特願2006-502491(P2006-502491)

【国際特許分類】

A 6 1 K 38/46 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

A 6 1 P 31/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 47/44 (2006.01)

A 6 1 K 47/34 (2006.01)

A 6 1 P 31/12 (2006.01)

A 6 1 P 31/18 (2006.01)

A 6 1 P 31/20 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 9/127 (2006.01)

C 1 2 N 9/16 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 37/54 Z N A

C 1 2 N 15/00 A

C 1 2 N 5/00 B

A 6 1 P 31/00

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 47/44

A 6 1 K 47/34

A 6 1 P 31/12

A 6 1 P 31/18

A 6 1 P 31/20

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 K 9/127

C 1 2 N 9/16 A

【手続補正書】

【提出日】平成19年1月12日(2007.1.12)

【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】

少なくとも1つのメガヌクレアーゼの、遺伝子疾患の予防、改善または治療を必要とする脊椎動物の肝臓において該遺伝子疾患を予防、改善または治療するために該脊椎動物に

いずれの手段により投与される医薬品を製造するための使用。

【請求項 2】

少なくとも1つのメガヌクレアーゼの、DNA媒介物を提示する感染性因子により引き起こされる疾患の予防、改善または治療を必要とする脊椎動物の肝臓において該疾患を予防、改善または治療するために該脊椎動物にいずれの手段により投与される医薬品を製造するための使用。

【請求項 3】

少なくとも1つのメガヌクレアーゼの、該メガヌクレアーゼをヒト以外の脊椎動物の体内に導入することによる治療以外の目的のためのヒト以外の脊椎動物の肝臓組織のゲノム工学のための使用。

【請求項 4】

前記メガヌクレアーゼが、ポリペプチドまたはプロモーター、例えば組織特異的プロモーターおよび/または誘導性プロモーターを含む適切な転写調節要素の制御下に該ポリペプチドをエンコードする配列を含むポリヌクレオチド構築物のいずれかとして用いることができることを特徴とする請求項1～3のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 5】

前記メガヌクレアーゼが、単独でまたは適切な賦形剤もしくは担体の少なくともいずれかおよび/またはターゲティングDNAとともに投与されることを特徴とする請求項1～4のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 6】

前記適切な賦形剤が、リボソーム、ポリエチレンジイミンおよび膜転位ペプチドからなる群より選択されることを特徴とする請求項1～5のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 7】

前記DNAのターゲティング断片が、標的遺伝子座と相同性を共有する配列で挟まれる対象の部位を改変する配列を含むことを特徴とする請求項1～6のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 8】

前記相同な配列が、前記標的遺伝子座と少なくとも50 bp、好ましくは100 bpより多く、より好ましくは200 bpより多くを有することを特徴とする請求項7に記載の使用。

【請求項 9】

対象の部位を改変する前記配列が、遺伝子損傷を修復するための遺伝子の正しい配列であることを特徴とする請求項7または8に記載の使用。

【請求項 10】

前記メガヌクレアーゼが、ホーミングエンドヌクレアーゼ、ジンクフィンガーヌクレアーゼおよびいずれの当初のメガヌクレアーゼに由来するメガヌクレアーゼ変異型であって、当初のメガヌクレアーゼの部位とは異なる認識・切断部位を示す変異型からなる群から選択されることを特徴とする請求項1～9のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 11】

前記メガヌクレアーゼをエンコードする前記配列および/またはDNAの前記ターゲティング断片がベクターに挿入されていることを特徴とする請求項1～6または10のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 12】

前記メガヌクレアーゼが、実質的に非免疫原性であることを特徴とする請求項1～11のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 13】

前記メガヌクレアーゼが、単一遺伝子劣性疾患の予防、改善または治療のために対象の部位を修復可能な配列を含む請求項7で規定したDNAのターゲティング断片とともに用いられることを特徴とする請求項1および4～12のいずれか1つに記載の使用。

【請求項 14】

前記メガヌクレアーゼが、優性または複合の異型接合突然変異を原因とする遺伝子疾患

を予防、改善または治療するために単独であるいは少なくとも1つの適切な賦形剤および/または担体とともに用いられることを特徴とする請求項1および4～12のいずれか1つに記載の使用。

【請求項15】

前記感染性因子がウイルスであることを特徴とする請求項2および7～12のいずれか1つに記載の使用。

【請求項16】

前記ウイルスが、HBVであることを特徴とする請求項15に記載の使用。

【請求項17】

前記メガヌクレアーゼをエンコードする前記配列およびDNAの前記ターゲティング断片が同じベクターに挿入されていることを特徴とする請求項1～16のいずれか1つに記載の使用。