

【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4月23日(2024.4.23)

【国際公開番号】WO2021/248085
 【公表番号】特表2023-529833(P2023-529833A)
 【公表日】令和5年7月12日(2023.7.12)
 【年通号数】公開公報(特許)2023-130
 【出願番号】特願2022-574447(P2022-574447)
 【国際特許分類】

10

C 1 2 N 15/11(2006.01)
 C 1 2 N 7/01(2006.01)
 C 1 2 N 15/864(2006.01)
 C 1 2 N 5/10(2006.01)
 C 1 2 N 5/0793(2010.01)
 A 0 1 K 67/027(2024.01)
 A 6 1 K 49/00(2006.01)
 A 6 1 K 35/76(2015.01)
 A 6 1 K 35/12(2015.01)
 A 6 1 K 31/711(2006.01)
 A 6 1 K 48/00(2006.01)
 A 6 1 P 25/28(2006.01)

20

【F I】

C 1 2 N 15/11 Z Z N A
 C 1 2 N 7/01
 C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z
 C 1 2 N 5/10
 C 1 2 N 5/0793
 A 0 1 K 67/027
 A 6 1 K 49/00
 A 6 1 K 35/76
 A 6 1 K 35/12
 A 6 1 K 31/711
 A 6 1 K 48/00
 A 6 1 P 25/28

30

【手続補正書】

【提出日】令和6年4月11日(2024.4.11)

【手続補正1】

【補正対象書類名】特許請求の範囲

40

【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】

人工発現構築物であって、(i)配列番号11、配列番号1、配列番号2、配列番号3、配列番号4、配列番号5、配列番号6、配列番号7、配列番号8、配列番号9、配列番号10、配列番号12、配列番号13、配列番号14、配列番号15、配列番号16、配列番号17、配列番号18、配列番号19、配列番号20、配列番号21、配列番号22、配列番号23、配列番号24、配列番号25、配列番号132、配列番号133、配列

50

番号 1 3 4、配列番号 1 3 5、配列番号 1 3 6、配列番号 1 3 7、配列番号 1 3 8、配列番号 1 3 9、配列番号 1 6 2、配列番号 1 6 4、配列番号 1 4 0、配列番号 1 4 1、配列番号 1 4 2、配列番号 1 4 3、配列番号 1 6 6、配列番号 1 4 4、配列番号 1 4 5、配列番号 1 4 6、配列番号 1 4 7、配列番号 1 4 8、配列番号 1 4 9、配列番号 1 5 0、配列番号 1 5 1、配列番号 1 5 2、配列番号 1 5 3、配列番号 1 5 4、配列番号 1 5 5、配列番号 1 5 6、配列番号 1 5 7、配列番号 1 5 8、配列番号 1 5 9、配列番号 1 6 0、配列番号 1 6 1、配列番号 1 6 3、または配列番号 1 6 5 に示される配列を有するエンハンサー； (i i) プロモーター；及び (i i i) 異種コード配列を含む、前記人工発現構築物。

【請求項 2】

10

前記コード配列が、蛍光タンパク質または神経伝達物質をコードする、請求項 1 に記載の人工発現構築物。

【請求項 3】

前記人工発現構築物が、血液脳関門を通過するキャプシドと会合している、請求項 1 に記載の人工発現構築物。

【請求項 4】

前記キャプシドが、PHP . e B、AAV 9、AAVrh . 1 0、AAV - B R 1、AAV - PHP . S、AAV - PHP . B、または、AAV - P P Sを含む、請求項 3 に記載の人工発現構築物。

【請求項 5】

20

前記人工発現構築物が、スキッピングエレメントを含むかまたはコードする、請求項 1 に記載の人工発現構築物。

【請求項 6】

前記スキッピングエレメントが、I 2 A ペプチド、P 2 A ペプチド、E 2 A ペプチド、F 2 A ペプチド、または内部リボソーム侵入部位 (I R E S) を含む、請求項 5 に記載の人工発現構築物。

【請求項 7】

前記人工発現構築物が、ウイルスベクター内にある、請求項 1 に記載の人工発現構築物。

【請求項 8】

30

前記ウイルスベクターが、組換えアデノ随伴ウイルス (A A V) ベクターを含む、請求項 8 に記載の人工発現構築物。

【請求項 9】

インビボまたはインビトロで細胞集団内でコード配列を選択的に発現する方法において使用する組成物であって、前記組成物は、請求項 1 に記載の人工発現構築物を含み、前記組成物は、前記細胞集団を含む試料または対象に、前記組成物を、十分な投与量で、かつ十分な時間で提供し、それにより、前記細胞集団内で前記コード配列を選択的に発現させることを含む、前記組成物。

【請求項 1 0】

前記コード配列が、蛍光タンパク質または神経伝達物質をコードする、請求項 9 に記載の組成物。

40

【請求項 1 1】

前記提供が、ピペッティングを含む、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 1 2】

前記脳スライスが、S s t G A B A 作動性ニューロン、P v a l b G A B A 作動性ニューロン、P v a l b / S s t G A B A 作動性ニューロン、V i p G A B A 作動性ニューロン、L a m p 5 G A B A 作動性ニューロン、及び/またはアストロサイトを含む、請求項 1 1 に記載の組成物。

【請求項 1 3】

前記脳スライスが、L a m p 5 _ L h x 6 G A B A 作動性ニューロンを含む、請求項

50

1.1に記載の組成物。

【請求項14】

前記提供が、生体に対して投与することを含む、請求項9に記載の組成物。

【請求項15】

前記生体が、ヒト、非ヒト霊長類、またはマウスである、請求項1.4に記載の組成物。

【請求項16】

前記生体に対する投与を、注射で行う、請求項1.4に記載の組成物。

【請求項17】

前記注射が、静脈内注射、脳組織に対する実質内注射、脳室内（ICV）注射、大槽内（ICM）注射、またはくも膜下腔内注射を含む、請求項1.6に記載の組成物。

10

【請求項18】

配列番号161、配列番号163、または配列番号165に記載の配列の1、2、3、4、5、6、7、8、9、または10コピーを有する、人工発現構築物。

【請求項19】

配列番号162、配列番号164、または配列番号166に記載の配列を有する、請求項1.8に記載の人工発現構築物。

20

30

40

50