

【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】令和 3 年 12 月 23 日 (2021.12.23)

【公表番号】特表 2021-502978 (P2021-502978A)

【公表日】令和 3 年 2 月 4 日 (2021.2.4)

【年通号数】公開・登録公報 2021-005

【出願番号】特願 2020-526473 (P2020-526473)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 38/44 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 N 15/53 (2006.01)

A 0 1 K 67/027 (2006.01)

C 1 2 N 15/11 (2006.01)

C 1 2 N 7/01 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 1/21 (2006.01)

C 1 2 N 1/19 (2006.01)

C 1 2 N 1/15 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 38/44

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 43/00 1 0 5

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/53

A 0 1 K 67/027

C 1 2 N 15/11 Z

C 1 2 N 7/01

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/15

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 11 月 15 日 (2021.11.15)

【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】

核酸を含むアデノ随伴ウイルスベクターであって、
前記核酸はヒト RDH 1 2 DNA を含み、

前記ヒトRDH12DNAは、配列番号2の全長と少なくとも70%、80%、90%、95%、または99%同一であるタンパク質をコードし、レチノール脱水素酵素12(RDH12)タンパク質をコードする遺伝子における1つ以上の機能喪失変異により眼科的状态を有するヒト対象を治療する方法における使用のためであり、

前記方法は、前記対象の少なくとも片方の眼に、アデノ随伴ウイルスベクターを投与することを含み、

前記アデノ随伴ウイルスベクターは、AAV-2、血清型-5(AAV2/5)である
ことを特徴とする、アデノ随伴ウイルスベクター。

【請求項2】

前記眼科的状态が、レーバー先天性黒内障(LCA)である、または、
前記RDH12DNAが、ヒトロドプシンキナーゼ1(hGRK1)プロモーターの発現制御下にあり、好ましくは、hGRK1プロモーターが配列番号3を含む、または、
前記RDH12DNAが、配列番号1に少なくとも60%または70%同一である配列を含む、または、

前記核酸を約 2×10^{10} ウイルスゲノム/ミリリットル(vg/mL)~約 2×10^{12} vg/mLの力価で投与することを含む、または、

前記核酸が、網膜下腔内に投与される、
ことを特徴とする、請求項1に記載の使用のためのアデノ随伴ウイルスベクター。

【請求項3】

前記核酸が、前記網膜下腔内に挿入されるマイクロ注入カニューレで、前記網膜下腔内に投与される、

ことを特徴とする、請求項2に記載の使用のためのアデノ随伴ウイルスベクター。

【請求項4】

ヒトRDH12DNAをコードする核酸を含み、
前記ヒトRDH12DNAが、配列番号2の全長と少なくとも70%、80%、90%、95%、または99%同一であるタンパク質をコードし、
前記RDH12DNAが、ヒトロドプシンキナーゼ1(hGRK1)プロモーターの制御下にあり、
前記アデノ随伴ウイルスベクターは、AAV-2、血清型-5(AAV2/5)である
ことを特徴とする、アデノ随伴ウイルスベクター。

【請求項5】

前記hGRK1プロモーターが、配列番号3を含み、または
前記ヒトRDH12DNAが、配列番号2を含むタンパク質をコードする、
ことを特徴とする、請求項4に記載のアデノ随伴ウイルスベクター。

【請求項6】

前記ヒトRDH12DNAが、配列番号1の全長と少なくとも60%または70%同一である、請求項4に記載のアデノ随伴ウイルスベクター。

【請求項7】

請求項4から6のいずれか一項に記載のアデノ随伴ウイルスベクターを含む、単離された宿主細胞。

【請求項8】

前記細胞が、ヒトRDH12タンパク質を発現する、請求項7に記載の単離された宿主細胞。