

【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R D H 1 2 D N Aを含み、

前記ヒトR D H 1 2 D N A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(R D H 1 2)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態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、A A V - 2、血清型 - 5 (A A V 2 / 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】

前記眼科的状態が、レーバー先天性黒内障(L C A)である、または、

前記R D H 1 2 D N Aが、ヒトロドシンキナーゼ1(h G R K 1)プロモーターの発現制御下にあり、好ましくは、h G R K 1プロモーターが配列番号3を含む、または、

前記R D H 1 2 D N A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(v g / m L)~約 2×10^{12} v g / m Lの力値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R D H 1 2 D N Aをコードする核酸を含み、

前記ヒトR D H 1 2 D N A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R D H 1 2 D N Aが、ヒトロドシンキナーゼ1(h G R K 1)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、A A V - 2、血清型 - 5 (A A V 2 / 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h G R K 1プロモーターが、配列番号3を含み、または

前記ヒトR D H 1 2 D N A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R D H 1 2 D N A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R D H 1 2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。