

【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2年4月16日(2020.4.16)

【公表番号】特表2019-508045(P2019-508045A)

【公表日】平成31年3月28日(2019.3.28)

【年通号数】公開・登録公報2019-012

【出願番号】特願2018-547354(P2018-547354)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/867	(2006.01)
A 6 1 K	47/66	(2017.01)
A 6 1 K	35/76	(2015.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/675	(2006.01)
A 6 1 P	35/00	(2006.01)
C 1 2 N	7/01	(2006.01)
C 1 2 N	15/113	(2010.01)

【F I】

C 1 2 N	15/867	Z N A Z
A 6 1 K	47/66	
A 6 1 K	35/76	
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	31/675	
A 6 1 P	35/00	
C 1 2 N	7/01	
C 1 2 N	15/113	1 3 0 Z

【手続補正書】

【提出日】令和2年3月6日(2020.3.6)

【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】

治療カーゴ部分を含むウイルスベクターであって、前記治療カーゴ部分が、
発現されたときに、ファルネシリニリン酸合成酵素(FDPS)を阻害することができる第1のスモールRNA配列と、

発現されたときに、CD47またはcMyCを阻害することができる第2のスモールRNAと

を含む、ウイルスベクター。

【請求項2】

前記少なくとも1つのスモールRNAが、第1のプロモーターの制御下にあり、前記第2のスモールRNA配列が、第2のプロモーターの制御下にある、請求項1に記載のウイルスベクター。

【請求項3】

前記治療カーゴ部分が、発現されたときに、CD47またはcMyCを阻害することができる第3のスモールRNA配列をさらに含む、請求項1に記載のウイルスベクター。

【請求項4】

前記第3のスモールR N A配列が、第3のプロモーターの制御下にある、請求項3に記載のウイルスベクター。

【請求項5】

前記スモールR N A配列が、単一のプロモーターの制御下にある、請求項3に記載のウイルスベクター。

【請求項6】

前記スモールR N A配列が、m i R N Aまたはs h R N Aを含む、請求項1に記載のウイルスベクター。

【請求項7】

前記スモールR N A配列が、配列番号1、2、3または4を含むF D P SのスモールR N A配列と少なくとも80%、または少なくとも85%、または少なくとも90%、または少なくとも95%、または100%の同一性パーセントを有する配列を含む、請求項1に記載のウイルスベクター。

【請求項8】

前記第2のスモールR N A配列が、配列番号5、6、7、8または9を含むC D 4 7のスモールR N A配列、あるいは配列番号10、11、12、13または14を含むc M y cのスモールR N A配列と少なくとも80%、または少なくとも85%、または少なくとも90%、または少なくとも95%、または100%の同一性パーセントを有する配列を含む、請求項1に記載のウイルスベクター。

【請求項9】

前記第3のスモールR N A配列が、配列番号5、6、7、8、もしくは9を含むC D 4 7のスモールR N A配列または配列番号10、11、12、13、もしくは14を含むc M y cのスモールR N A配列と少なくとも80%、または少なくとも85%、または少なくとも90%、または少なくとも95%、または100%の同一性パーセントを有する配列を含む、請求項3に記載のウイルスベクター。

【請求項10】

レンチウイルスベクターである、請求項1から9のいずれか一項に記載のウイルスベクター。

【請求項11】

標的細胞に感染することができるレンチウイルス粒子であって、
a. 前記標的細胞に感染するために最適化されたエンベロープタンパク質、および
b. 請求項1から10のいずれか一項に記載のウイルスベクター
を含む、レンチウイルス粒子。

【請求項12】

a. 請求項11に記載のレンチウイルス粒子、および
b. アミノビスホスホネート薬物
を含む組成物。

【請求項13】

前記アミノビスホスホネート薬物が、ゾレドロン酸である、請求項12に記載の組成物。

【請求項14】

がんの処置における使用のための、請求項12または13に記載の組成物。

【請求項15】

がんを処置するための医薬の製剤化における使用のための、請求項12または13に記載の組成物。

【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 2 0 3

【補正方法】変更

【補正の内容】**【0203】**

本発明の好ましい実施形態のある特定の一部分を上記し、具体的に例示したが、本発明がそのような実施形態に限定されることを意図するものではない。本発明の範囲および精神から離れることなく、それに対して様々な改変がなされ得る。

本発明の実施形態の例として、以下の項目が挙げられる。

(項目1)

治療カーゴ部分を含むウイルスベクターであって、前記治療カーゴ部分が、少なくとも1つの予め定められた相補的mRNA配列に結合することができる少なくとも1つのスマートRNA配列を含み、前記少なくとも1つの相補的mRNA配列が、FDPsのmRNA配列を含む、ウイルスベクター。

(項目2)

前記治療カーゴ部分が、第2の予め定められた相補的mRNA配列に結合することができる第2のスマートRNA配列をさらに含み、前記第2の予め定められた相補的mRNA配列が、CD47のmRNA配列またはcMyCのmRNA配列を含む、項目1に記載のウイルスベクター。

(項目3)

前記少なくとも1つのスマートRNAが、第1のプロモーターの制御下にあり、前記第2のスマートRNA配列が、第2のプロモーターの制御下にある、項目2に記載のウイルスベクター。

(項目4)

前記治療カーゴ部分が、第3の予め定められた相補的mRNA配列に結合することができる第3のスマートRNA配列をさらに含み、前記第3の予め定められた相補的mRNA配列が、CD47のmRNA配列またはcMyCのmRNA配列を含む、項目2に記載のウイルスベクター。

(項目5)

前記第3のスマートRNA配列が、第3のプロモーターの制御下にある、項目4に記載のウイルスベクター。

(項目6)

前記スマートRNA配列が、単一のプロモーターの制御下にある、項目4に記載のウイルスベクター。

(項目7)

前記スマートRNA配列が、miRNAまたはshRNAを含む、項目1に記載のウイルスベクター。

(項目8)

前記スマートRNA配列が、
G T C C T G G A G T A C A A T G C C A T T C T C G A G A A T G G C A T T G T A C
T C C A G G A C T T T T T (配列番号1) ;
G C A G G A T T T C G T T C A G C A C T T C T C G A G A A G T G C T G A A C G A
A A T C C T G C T T T T T (配列番号2) ;
G C C A T G T A C A T G G C A G G A A T T C T C G A G A A T T C C T G C C A T G
T A C A T G G C T T T T T (配列番号3) ; または
G C A G A A G G A G G C T G A G A A A G T C T C G A G A C T T T C T C A G C C T
C C T T C T G C T T T T T (配列番号4)

を含むFDPsのスマートRNA配列と少なくとも80%、または少なくとも85%、または少なくとも90%、または少なくとも95%の同一性パーセントを有する配列を含む、項目1に記載のウイルスベクター。

(項目9)

前記スマートRNA配列が、配列番号1、2、3、または4から選択される、項目8に記載のウイルスベクター。

(項目10)

前記第2のスモールRNA配列が、

G G T G A A A C G A T C A T C G A G C C T C G A G G C T C G A T G A T C G T T T
C A C C T T T T T (配列番号5) ;

G C T A C T G G C C T T G G T T T A A C T C G A G T T A A A C C A A G G C C A G
T A G C T T T T T (配列番号6) ;

C C T C C T T C G T C A T T G C C A T C T C G A G A T G G C A A T G A C G A A G
G A G G T T T T T (配列番号7) ;

G C A T G G C C C T C T T C T G A T T C T C G A G A A T C A G A A G A G G G C C
A T G C T T T T T (配列番号8) ; または

G G T G A A A C G A T C A T C G A G C T A C T C G A G T A G C T C G A T G A T C
G T T T C A C C T T T T T (配列番号9) を含むCD47のスモールRNA配列、あるいは

G C T T C A C C A A C A G G A A C T A T G C T C G A G C A T A G T T C C T G T T
G G T G A A G C T T T T (配列番号10) ;

G C G A A C A C A C A A C G T C T T G G A C T C G A G T C C A A G A C G T T G T
G T G T T C G C T T T T (配列番号11) ;

G A C A T G G T G A A C C A G A G T T T C C T C G A G G A A A C T C T G G T T C
A C C A T G T C T T T T T (配列番号12) ;

G A G A A T G T C A A G A G G G C G A A C A C T C G A G T G T T C G C C T C T T G
A C A T T C T C T T T T T (配列番号13) ; または

G C T C A T T T C T G A A G A G G A C T T C T C G A G A A G T C C T C T T C A G
A A A T G A G C T T T T T (配列番号14) を含むcMyCのスモールRNA配列と少なくとも80%、または少なくとも85%、または少なくとも90%、または少なくとも95%の同一性パーセントを有する配列を含む、項目2に記載のウイルスベクター。

(項目11)

前記第2のスモールRNA配列が、配列番号5、6、7、8、9、10、11、12、13、または14から選択される、項目10に記載のウイルスベクター。

(項目12)

前記第3のスモールRNA配列が、配列番号5、6、7、8、もしくは9を含むCD47のスモールRNA配列または配列番号10、11、12、13、もしくは14を含むcMyCのスモールRNA配列と少なくとも80%、または少なくとも85%、または少なくとも90%、または少なくとも95%の同一性パーセントを有する配列を含む、項目4に記載のウイルスベクター。

(項目13)

前記第3のスモールRNA配列が、配列番号5、6、7、8、9、10、11、12、13、または14から選択される、項目12に記載のウイルスベクター。

(項目14)

レンチウイルスベクターである、項目1から13のいずれか一項に記載のウイルスベクター。

(項目15)

標的細胞に感染することができるレンチウイルス粒子であって、

- a . 前記標的細胞に感染するために最適化されたエンベロープタンパク質、および
- b . 項目1から14のいずれか一項に記載のウイルスベクター

を含む、レンチウイルス粒子。

(項目16)

- a . 項目15に記載のレンチウイルス粒子、および
- b . アミノビスホスホネート薬物

を含む組成物。

(項目17)

前記アミノビスホスホネート薬物が、ゾレドロン酸である、項目16に記載の組成物。

(項目18)

治療有効量の項目16または17に記載の組成物を被験体に投与することを含む、前記被験体におけるがんを処置する方法。

(項目19)

a. 治療有効量の項目15に記載のレンチウイルス粒子、および

b. 治療有効量のアミノビスホスホネート薬物

を被験体に投与することを含む、前記被験体におけるがんを処置する方法。

(項目20)

a. 有効量の項目15に記載のレンチウイルス粒子、および

b. 有効量のアミノビスホスホネート薬物

を被験体に投与することを含む、前記被験体におけるがんを予防する方法。

(項目21)

前記アミノビスホスホネート薬物が、ゾレドロン酸である、項目19または20に記載の方法。

(項目22)

ステップ(a)およびステップ(b)が同時に実行される、項目19または20に記載の方法。

(項目23)

規定された長さの期間が、ステップ(a)とステップ(b)との間に経過する、項目19または20に記載の方法。

(項目24)

治療有効量の前記レンチウイルス粒子が、複数の単回用量の前記レンチウイルス粒子を含む、項目19または20に記載の方法。

(項目25)

治療有効量の前記アミノビスホスホネート薬物が、単回用量の前記アミノビスホスホネート薬物を含む、項目19または20に記載の方法。