

【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、ファルネシルニリン酸合成酵素 (F D P S) を阻害することができ
る第 1 のスモール R N A 配列と、
発現されたときに、C D 4 7 または c M y c を阻害することができる第 2 のスモール R
N A 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 R N A 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 R N A 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、C D 4 7 または c M y c を阻害することが
できる第 3 のスモール R N A 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RNA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RNA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RNA配列が、miRNAまたはshRNA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RNA配列が、配列番号1、2、3または4を含むFDP5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%、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RNA配列が、配列番号5、6、7、8または9を含むCD47のスモールRNA配列、あるいは配列番号10、11、12、13または14を含むcMy c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%、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cMy c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%、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】0203

【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つのスモール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のスモール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cMy c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つのスモールRNAが、第1のプロモーターの制御下にある、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、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のスモール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cMy c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のスモール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)

前記スモール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)

前記スモール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)

前記スモール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1に記載のウイルスベクター。

(項目9)

前記スモール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 1 0)

前記第 2 のスモール RNA 配列が、

GGTGAAACGATCATCGAGCCTCGAGGCTCGATGATCGTTT
CACCTTTTTT (配列番号 5) ;

GCTACTGGCCCTTG GTTTTAACTCGAGTTTAAACCAAGGCCAG
TAGCTTTTTT (配列番号 6) ;

CCTCCTTTCGTCATTTGCCATCTCGAGATGGCAATGACGAAG
GAGGTTTTTT (配列番号 7) ;

GCATGGCCCTCTTCTGATTTCTCGAGAATCAGAAAGAGGGCC
ATGCTTTTTT (配列番号 8) ; または

GGTGAAACGATCATCGAGCTACTCGAGTAGCTCGATGATC
GTTTTTCACTTTTTT (配列番号 9) を含む CD 4 7 のスモール RNA 配列、ある

いは

GCTTTCACCAACAGGAACCTATGCTCGAGCATAGTTTCTGT
GGTGAAAGCTTTTT (配列番号 1 0) ;

GCGAACAACAACAAGTCTTGGA CTCTCGAGTCCAAGACGTTGT
GTGTTTCGCTTTTT (配列番号 1 1) ;

GACATGGTGAAACCAAGAGTTTCTCTCGAGGA AACTCTGGTTTC
ACCATGTCTTTTTT (配列番号 1 2) ;

GAGAAATGTCAAGAGGCGAACA CTCTCGAGTGTTCGCCTCTTG
ACATTTCTCTTTTTT (配列番号 1 3) ; または

GCTCATTTTCTGAAGAGGACTTCTCTCGAGAAAGTCTCTTCA
GAAATGAGCTTTTTT (配列番号 1 4)

を含む c M y c のスモール RNA 配列と少なくとも 8 0 %、または少なくとも 8 5 %、ま
たは少なくとも 9 0 %、または少なくとも 9 5 %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 1 1)

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 1 2)

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 CD 4
7 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 c
M y c のスモール RNA 配列と少なくとも 8 0 %、または少なくとも 8 5 %、または少な
くとも 9 0 %、または少なくとも 9 5 %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 1 3)

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 1 4)

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 1 5)

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ップタンパク質、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 1 6)

a . 項目 15 に記載のレンチウイルス粒子、および

b . アミノピスホスホネート薬物

を含む組成物。

(項目 1 7)

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 1 6 に記載の組成物。

(項目 1 8)

治療有効量の項目 1 6 または 1 7 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 1 9)

a . 治療有効量の項目 1 5 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 2 0)

a . 有効量の項目 1 5 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 2 1)

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 1 9 または 2 0 に記載の方法。

(項目 2 2)

ステップ (a) およびステップ (b) が同時に実行される、項目 1 9 または 2 0 に記載の方法。

(項目 2 3)

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 1 9 または 2 0 に記載の方法。

(項目 2 4)

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 1 9 または 2 0 に記載の方法。

(項目 2 5)

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 1 9 または 2 0 に記載の方法。