

【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1年12月5日(2019.12.5)

【公表番号】特表2018-536420(P2018-536420A)

【公表日】平成30年12月13日(2018.12.13)

【年通号数】公開・登録公報2018-048

【出願番号】特願2018-529927(P2018-529927)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/864 (2006.01)
 A 6 1 K 35/761 (2015.01)
 A 6 1 K 48/00 (2006.01)
 A 6 1 P 25/02 (2006.01)
 A 6 1 P 27/16 (2006.01)
 C 1 2 N 15/113 (2010.01)
 C 0 7 K 14/005 (2006.01)
 C 1 2 N 15/33 (2006.01)
 A 6 1 K 38/18 (2006.01)
 C 1 2 N 15/12 (2006.01)
 C 1 2 N 15/13 (2006.01)
 C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z
 A 6 1 K 35/761
 A 6 1 K 48/00
 A 6 1 P 25/02 1 0 1
 A 6 1 P 27/16
 C 1 2 N 15/113 Z
 C 0 7 K 14/005
 C 1 2 N 15/33
 A 6 1 K 38/18
 C 1 2 N 15/12 Z N A
 C 1 2 N 15/13
 C 1 2 N 15/09 1 0 0
 C 1 2 N 15/09 1 1 0

【手続補正書】

【提出日】令和1年10月24日(2019.10.24)

【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】

A n c 8 0 カプシドタンパク質、および T M C 1、T M C 2、M Y O 7 A、U S C H 1 C、C D H 2 3、P C D H 1 5、S A N S、C I B 2、U S H 2 A、V L G R 1、W H R N、C L R N 1、P D Z D 7 からなる群から選択される1つまたは複数の導入遺伝子を含む、A V V ベクター。

【請求項2】

アデノ随伴ウイルス(AAV)を含む、対象の内耳中の1つまたは複数の細胞に導入遺伝子を送達するための組成物であって、

前記AAVはAnc80カプシドタンパク質および導入遺伝子を含む、組成物。

【請求項3】

前記内耳中の1つまたは複数の細胞が、内有毛細胞(IHC)および外有毛細胞(OHC)からなる群から選択される、請求項2に記載の組成物。

【請求項4】

前記導入遺伝子が、内有毛細胞の少なくとも80%および外有毛細胞の少なくとも80%に送達される、請求項3に記載の組成物。

【請求項5】

前記内耳中の1つまたは複数の細胞が、らせん神経節ニューロン、前庭有毛細胞、前庭神経節ニューロン、支持細胞および血管条中の細胞からなる群から選択される、請求項2に記載の組成物。

【請求項6】

前記導入遺伝子が、ACTG1、ADCY1、ATOHI、ATP6V1B1、BDNF、BDP1、BSND、DATSPER2、CABP2、CD164、CDC14A、CDH23、CEACAM16、CHD7、CCDC50、CIB2、CLDN14、CLIC5、CLPP、CLRN1、COCH、COL2A1、COL4A3、COL4A4、COL4A5、COL9A1、COL9A2、COL11A1、COL11A2、CRYM、DCDC2、DFNA5、DFNB31、DFNB59、DIAPH1、EDN3、EDNRB、ELMOD3、EMOD3、EPS8、EPS8L2、ESPN、ESRRB、EYA1、EYA4、FAM65B、FOXI1、GIPC3、GJB2、GJB3、GJB6、GPR98、GRHL2、GPSM2、GRXCR1、GRXCR2、HARS2、HGF、HOMER2、HSD17B4、ILDR1、KARS、KCNE1、KCNJ10、KCNQ1、KCNQ4、KITLG、LARS2、LHFPL5、LOXHD1、LRTOMT、MARVELD2、MCM2、MET、MIR183、MIRN96、MITF、MSRB3、MT-RNR1、MT-TS1、MYH14、MYH9、MYO15A、MYO1A、MYO3A、MYO6、MYO7A、NARS2、NDP、NF2、NT3、OSBPL2、OTOA、OTOF、OTOG、OTOGL、P2RX2、PAX3、PCDH15、PDZD7、PJVK、PNPT1、POLR1D、POLR1C、POU3F4、POU4F3、PRPS1、PTPRQ、RDX、S1PR2、SANS、SEMA3E、SERPINB6、SLC17A8、SLC22A4、SLC26A4、SLC26A5、SIX1、SIX5、SMAC/DIABLO、SNAI2、SOX10、STRC、SYNE4、TBC1D24、TCOF1、TECTA、TIMM8A、TJP2、TNC、TMC1、TMC2、TMIE、TMEM132E、TMPRSS3、TRPN、TRIOBP、TSPEAR、USH1C、USH1G、USH2A、USH2D、VLGR1、WFS1、WHRN、およびXIAPからなる群から選択される、請求項2に記載の組成物。

【請求項7】

前記導入遺伝子が、神経栄養因子をコードする、請求項2に記載の組成物。

【請求項8】

前記神経栄養因子が、GDNF、BDNF、NT3およびHSP70からなる群から選択される、請求項7に記載の組成物。

【請求項9】

前記導入遺伝子が、抗体またはその断片をコードする、請求項2に記載の組成物。

【請求項10】

前記導入遺伝子が、免疫調節タンパク質をコードする、請求項2に記載の組成物。

【請求項11】

前記導入遺伝子が、抗発癌性転写物をコードする、請求項2に記載の組成物。

【請求項12】

前記導入遺伝子が、アンチセンス、サイレンシング、または長鎖非コードRNA種をコードする、請求項2に記載の組成物。

【請求項13】

前記導入遺伝子が、遺伝子操作されたジンクフィンガーヌクレアーゼ、TALENおよびCRISPRからなる群から選択されるゲノム編集システムをコードする、請求項2に記載の組成物。

【請求項14】

前記Anc80カプシドタンパク質が、配列番号1に示される配列を有する、請求項2に記載の組成物。

【請求項15】

前記Anc80カプシドタンパク質が、配列番号2に示される配列を有する、請求項2に記載の組成物。

【請求項16】

前記導入遺伝子が、異種プロモーター配列の制御下にある、請求項3に記載の組成物。

【請求項17】

前記異種プロモーター配列が、CMVプロモーター、CBAプロモーター、CASIPプロモーター、PGKプロモーター、EF-1プロモーター、アルファ9ニコチン受容体プロモーター、プレスチンプロモーター、KCNQ4プロモーター、Myo7aプロモーター、Myo6プロモーター、Gfilプロモーター、Vglut3プロモーターおよびAtoh1プロモーターからなる群から選択される、請求項16に記載の組成物。

【請求項18】

前記投与するステップが、蝸牛窓を通してAncAAVを注入することを含む、請求項2に記載の組成物。

【請求項19】

前記AncAAVが、蝸牛窓を通る注入により投与される、請求項2に記載の組成物。

【請求項20】

前記AncAAVが、蝸牛開窓術の間またはカナロストミーの間に投与される、請求項2に記載の組成物。

【請求項21】

前記AncAAVが、1つまたは複数のドラッグデリバリービヒクルによって中耳および/または蝸牛窓に投与される、請求項2に記載の組成物。

【請求項22】

前記導入遺伝子の発現が、内有毛細胞(IHC)、外有毛細胞(OHC)、らせん神経節ニューロン、血管条、前庭有毛細胞および/または前庭神経節ニューロンの再生をもたらし、それによって、聴覚または前庭機能を回復させる、請求項2に記載の組成物。

【請求項23】

AAVベクターおよび医薬組成物を含む製造品であって、前記AAVベクターは、Anc80カプシドタンパク質およびプロモーターに作動可能に連結された導入遺伝子を含む、製造品。

【請求項24】

前記導入遺伝子が、ACTG1、ADCY1、ATOHI、ATP6V1B1、BDNF、BDP1、BSND、DATSPER2、CABP2、CD164、CDC14A、CDH23、CEACAM16、CHD7、CCDC50、CIB2、CLDN14、CLIC5、CLPP、CLRN1、COCH、COL2A1、COL4A3、COL4A4、COL4A5、COL9A1、COL9A2、COL11A1、COL11A2、CRYM、DCDC2、DFNA5、DFNB31、DFNB59、DIAPH1、EDN3、EDNRB、ELMOD3、EMOD3、EPS8、EPS8L2、ESPN、ESRRB、EYA1、EYA4、FAM65B、FOXI1、GIPC3、GJB2、GJB3、GJB6、GPR98、GRHL2、GPSM2、GRXCR1、GRXCR2、HARS2、HGF、HOMER2、HSD17B4、ILDR1、KARS、KCNE

1、KCNJ10、KCNQ1、KCNQ4、KITLG、LARS2、LHFPL5、LOXHD1、LRTOMT、MARVELD2、MCM2、MET、MIR183、MIRN96、MITF、MSRB3、MT-RNR1、MT-TS1、MYH14、MYH9、MYO15A、MYO1A、MYO3A、MYO6、MYO7A、NARS2、NDP、NF2、NT3、OSBPL2、OTOA、OTOF、OTOG、OTOGL、P2RX2、PAX3、PCDH15、PDZD7、PJVK、PNPT1、POLR1D、POLR1C、POU3F4、POU4F3、PRPS1、PTPRQ、RDX、S1PR2、SANS、SEMA3E、SERPINB6、SLC17A8、SLC22A4、SLC26A4、SLC26A5、SIX1、SIX5、SMAC/DIABLO、SNAI2、SOX10、STRC、SYNE4、TBC1D24、TCOF1、TECTA、TIMM8A、TJP2、TNC、TMC1、TMC2、TMIE、TMEM132E、TMPRSS3、TRPN、TRIOBP、TSPEAR、USH1C、USH1G、USH2A、USH2D、VLGR1、WFS1、WHRN、およびXIAPからなる群から選択される、請求項23に記載の製造品。

【請求項25】

アデノ随伴ウイルス(AAV)を含む、対象の内耳中の1つまたは複数の細胞にTMC1またはTMC2導入遺伝子を送達するための組成物であって、

前記AAVは、Anc80カプシドタンパク質および導入遺伝子を含む、組成物。

【請求項26】

アデノ随伴ウイルス(AAV)を含む、対象の内耳中の1つまたは複数の細胞にアッシャー導入遺伝子を送達するための組成物であって、

前記AAVは、Anc80カプシドタンパク質および導入遺伝子を含む、組成物。

【請求項27】

前記アッシャー導入遺伝子が、MYO7A、USCH1C、CDH23、PCDH15、SANS、CIB2、USH2A、VLGR1、WHRN、CLRN1、PDZD7からなる群から選択される、請求項25または26に記載の組成物。

【請求項28】

前記内耳中の1つまたは複数の細胞が、内有毛細胞(IHC)および外有毛細胞(OHC)からなる群から選択される、請求項25または26に記載の組成物。

【請求項29】

前記導入遺伝子が、内有毛細胞の少なくとも80%および外有毛細胞の少なくとも80%に送達される、請求項28に記載の組成物。

【請求項30】

前記内耳中の1つまたは複数の細胞が、らせん神経節ニューロン、前庭有毛細胞、前庭神経節ニューロン、支持細胞および血管条中の細胞からなる群から選択される、請求項25または26に記載の組成物。

【請求項31】

前記Anc80カプシドタンパク質が、配列番号1に示される配列を有する、請求項25または26に記載の組成物。

【請求項32】

前記Anc80カプシドタンパク質が、配列番号2に示される配列を有する、請求項25または26に記載の組成物。

【請求項33】

前記導入遺伝子が、異種プロモーター配列の制御下にある、請求項25または26に記載の組成物。

【請求項34】

前記異種プロモーター配列が、CMVプロモーター、CBAプロモーター、CASIプロモーター、PGKプロモーター、EF-1プロモーター、アルファ9ニコチン受容体プロモーター、プレスチンプロモーター、KCNQ4プロモーター、Myo7aプロモーター、Myo6プロモーター、Gfi1プロモーター、Vglut3プロモーターおよびA

t o h 1 プロモーターからなる群から選択される、請求項 3 3 に記載の組成物。

【請求項 3 5】

前記投与するステップが、蝸牛窓を通して A n c A A V を注入することを含む、請求項 2 5 または 2 6 に記載の組成物。

【請求項 3 6】

前記 A n c A A V が、蝸牛窓を通る注入により投与される、請求項 2 5 または 2 6 に記載の組成物。

【請求項 3 7】

前記 A n c A A V が、蝸牛開窓術の間またはカナロストミーの間に投与される、請求項 2 5 または 2 6 に記載の組成物。

【請求項 3 8】

前記 A n c A A V が、1 つまたは複数のドラッグデリバリービヒクルによって中耳および/または蝸牛窓に投与される、請求項 2 5 または 2 6 に記載の組成物。

【請求項 3 9】

前記導入遺伝子の発現が、内有毛細胞 (I H C)、外有毛細胞 (O H C)、らせん神経節ニューロン、血管条、前庭有毛細胞および/または前庭神経節ニューロンの再生をもたらし、それによって、聴覚または前庭機能を回復させる、請求項 2 5 または 2 6 に記載の組成物。