

【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5月16日(2019.5.16)

【公開番号】特開2018-143253(P2018-143253A)

【公開日】平成30年9月20日(2018.9.20)

【年通号数】公開・登録公報2018-036

【出願番号】特願2018-119670(P2018-119670)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 15/86 (2006.01)

C 1 2 N 15/861 (2006.01)

C 1 2 N 15/867 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 N 15/869 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/83 (2006.01)

A 0 1 H 1/00 (2006.01)

C 0 7 K 14/31 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/09 1 1 0

C 1 2 N 15/86 Z

C 1 2 N 15/861 Z

C 1 2 N 15/867 Z

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/869 Z

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 15/83 Z

A 0 1 H 1/00 A

C 0 7 K 14/31 Z N A

【手続補正書】

【提出日】平成31年4月5日(2019.4.5)

【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) 標的配列にハイブリダイズすることができるガイド配列、(b) t r a c r 配列にハイブリダイズすることができる、t r a c r メイト配列、及び(c) t r a c r 配列を含む C R I S P R - C a s 系キメラRNA (ch i RNA) であって、黄色ブドウ球菌 (Staphylococcus aureus) C a s 9 (S a C a s 9) タンパク質と C R I S P R - C a s 複合体を形成することができる、真核細胞において、プロトスペーサー隣接モチーフ (P A M) に隣接する標的配列への C R I S P R - C a s 複合体の配列特異的結合を指向することができる、C R I S P R - C a s 系 c h i RNA。

【請求項2】

P A M が N N G R R を含む、請求項1に記載の C R I S P R - C a s 系 c h i RNA。

【請求項3】

前記 t r a c r 配列が、少なくとも 30ヌクレオチドの長さを含む、請求項 1 又は 2 に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A。

【請求項 4】

前記 t r a c r 配列が、少なくとも 40ヌクレオチドの長さを含む、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A。

【請求項 5】

前記 t r a c r 配列が、少なくとも 50ヌクレオチドの長さを含む、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A。

【請求項 6】

ガイド配列が、10 ~ 30ヌクレオチドの長さを含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A。

【請求項 7】

ガイド配列が、少なくとも 20ヌクレオチドの長さを含む、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A。

【請求項 8】

ガイド配列が、20、21、22、23、又は24ヌクレオチドの長さを含む、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A。

【請求項 9】

以下の配列：

NNNNNNNNNNNNNNNNNNNNNGUUUUAGUACUCUGGAAACAGAAUCUACUAAAAACAAGGCAAAAUGCCGUGUUUAUCUCGU
CAACUUGUUGGCGAGAUUUUUUUU

を含む、請求項 1 に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A。

【請求項 10】

請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A をコードするポリヌクレオチド配列を含むベクター。

【請求項 11】

2以上のC R I S P R - C a s系 c h i R N A をコードする、請求項 10 に記載のベクター。

【請求項 12】

真核細胞での発現用にコドン最適化されている S a C a s 9 タンパク質をコードするポリヌクレオチド配列をさらに含む、請求項 10 又は 11 に記載のベクター。

【請求項 13】

ウイルスベクターである、請求項 10 ~ 12 のいずれか一項に記載のベクター。

【請求項 14】

アデノ随伴ウイルス (A A V) ベクターである、請求項 13 に記載のベクター。

【請求項 15】

請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A と、S a C a s 9 タンパク質とを含む組成物。

【請求項 16】

請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A と、S a C a s 9 タンパク質をコードする m R N A とを含む組成物。

【請求項 17】

C R I S P R - C a s系 c h i R N A と、S a C a s 9 のタンパク質又は m R N A とが、ナノ粒子、リポソーム、エキソソーム、又はマイクロベシクル中に含まれている、請求項 15 又は 16 に記載の組成物。

【請求項 18】

請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の C R I S P R - C a s系 c h i R N A、請求項 10 ~ 14 のいずれか一項に記載の ベクター、又は請求項 15 ~ 17 のいずれか一項に記載の組成物を含む、真核細胞。