

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

PATENTTI- JA REKISTERIHALLITUS
PATENT- OCH REGISTERSTYRELSEN
FINNISH PATENT AND REGISTRATION OFFICE

(10)

EP/EP3250691 T3

(12)

**EUROOPPAPATENTIN KÄÄNNÖS
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT
TRANSLATION OF EUROPEAN PATENT SPECIFICATION**

(45)

Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning -
Translation available to the public

24.08.2023

(97)

Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för
det europeiska patentet - Date of grant of European patent

21.06.2023

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification

C12N 15/113 (2010 . 01)

C12N 15/11 (2006 . 01)

C12N 9/22 (2006 . 01)

C12N 15/63 (2006 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP1670497.2

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

(97)

Patenttihakemuksen julkiseksitulosopäivä - Patentansökans
publiceringsdag - Patent application available to the public

06.12.2017

(86)

Kansainvälinen hakemus - Internationell
ansökan - International application

27.01.2016 PCT/US2016015145

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

28.01.2015 US US201562108931 P

05.11.2015 US US201562251548 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• Caribou Biosciences, Inc. , 2929 7th Street Suite 105 , Berkeley, CA 94710 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• MAY, Andrew P. , 564 29th Avenue , San Francisco, California 94121 , (US)

2• DONOHUE, Paul D. , San Francisco, California 94103 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Cosmovici IntellectualProperty , 11 BoulevardSébastopol , 75001 Paris , (FR)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

CRISPR HYBRIDI DNA/RNA POLYNUKLEOTIDIT JA KÄYTTÖMENETELMÄT

CRISPR HYBRID DNA/RNA POLYNUCLEOTIDES AND METHODS OF USE

Patenttivaatimukset

1. Yksittäinen luokan 2 CRISPR polynukleotidi, johon sisältyy:

kohdentava alue, johon sisältyy deoksiribonukleiinihappo (DNA); ja
 aktivoiva alue mainitun kohdentavan alueen vieressä, joka käsittää DNA:ta;
 missä mainittuun aktivoivaan alueeseen sisältyy kantasilmukkarakenne ja se kykenee
 vuorovaikutukseen Cpf1:n kanssa.

2. Patenttivaatimuksen 1 yksittäinen luokan 2 CRISPR polynukleotidi, missä kohdentavaan alueeseen sisältyy DNA:n ja RNA:n seos ja/tai aktivoivaan alueeseen sisältyy DNA:n ja RNA:n seos.

3. Luokan 2 CRISPR järjestelmä, johon sisältyy:

(i) kummassa tahansa patenttivaatimuksista 1 - 2 määritellyn kaltainen yksittäinen polynukleotidi; ja
 (ii) Cpf1.

4. Patenttivaatimuksen 3, luokan 2 CRISPR järjestelmä, joka lisäksi käsittää luovuttajapolynukleotidin.

5. Kohdenukleiinihapon molekyylin in vitro modifiointimenetelmä, johon sisältyy mainitun kohdenukleiinihapon molekyylin, jossa on kohdesekvenssi, kosketuksiin asettaminen seuraavien kanssa:

(i) yksittäinen polynukleotidi, johon sisältyy

(a) kohdentava alue, joka käsittää deoksiribonukleiinihapon (DNA) ja on konfiguroitu hybridisoitumaan kohdesekvenssiin; ja

(b) kohdentavan alueen vieressä oleva aktivoiva alue, joka sisältää DNA:ta ja missä aktivoiva alue käsittää kantasilmukkarakenteen; ja

(ii) Cpf1, jossa Cpf1 sitoutuu yksittäisen polynukleotidin aktivoivaan alueeseen, missä mainittu kohdenukleiinihapon molekyyli on pilkottu,
 missä mainittu kohdenukleiinihapon molekyyli käsittää DNA:ta.

6. Luokan 2 CRISPR-järjestelmä käytettäväksi menetelmässä kohdenukleiinihapon molekyylin modifioimiseksi in vivo, missä mainittuun CRISPR-järjestelmään sisältyy:

(i) yksittäinen polynukleotidi, johon sisältyy (a) kohdentava alue, johon sisältyy deoksiribonukleiinihappo (DNA) ja

konfiguroitu hybridisoitumaan kohdesekvenssiin; ja b) kohdentavan alueen vieressä oleva aktivoiva alue, johon sisältää DNA:ta, missä aktivoiva alue käsittää kantasilmukkarakenteen; ja

(ii) Cpf1;

ja mainittuun menetelmään sisältyy mainitun kohdenukleiinihapon molekyylin, jossa on in vivo kohdesekvenssi, asettaminen kosketuksiin CRISPR järjestelmän kanssa, missä Cpf1 sitoutuu yksittäisen polynukleotidin aktivoivan alueen ja missä mainittu kohdenukleiinihapon molekyylin on pilkottu, missä mainittu kohdenukleiinihapon molekyylin käsittää DNA:ta.

7. Menetelmä tai CRISPR-järjestelmä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 5 - 6 mukaisesti, joka lisäksi käsittää luovuttajapolynukleotidin järjestämisen.

8. In vitro menetelmä vähintään yhden geenin transkription moduloimiseksi kohdenukleiinihapon molekyylissä, mainittuun menetelmään sisältyessä kohteena olevan nukleiinihapon molekyylin, jolla on kohdesekvenssi, asettaminen kosketuksiin seuraavien kanssa:

(i) yksittäinen polynukleotidi johon sisältyy

(a) kohdentava alue, joka käsittää deoksiribonukleiinihapon (DNA) ja on konfiguroitu hybridisoitumaan kohdesekvenssiin; ja

(b) kohdentavan alueen vieressä oleva aktivoiva alue, joka sisältää DNA:ta ja missä aktivoiva alue käsittää kantasilmukkarakenteen; ja

(ii) a Cpf1,

missä Cpf1:llä ei ole nukleaasiaktiivisuutta, missä Cpf1 sitoutuu yksittäisen polynukleotidin aktivoivaan alueeseen, missä yksittäisen polynukleotidin kohdentava alue hybridisoituu kohdesekvenssiin, jolloin vähintään yhden geenin transkriptio kohdenukleiinihapon molekyylissä on moduloitu.

9. Luokan 2 CRISPR järjestelmä käytettäväksi menetelmässä, jolla moduloidaan vähintään yhden geenin transkriptio kohdenukleiinihapon molekyylissä in vivo, missä mainittuun CRISPR järjestelmään sisältyy:

(i) yksittäinen polynukleotidi, johon sisältyy

(a) kohdentava alue, joka käsittää deoksiribonukleiinihapon (DNA) ja on konfiguroitu hybridisoitumaan kohdesekvenssiin; ja

(b) kohdentavan alueen vieressä oleva aktivoiva alue, joka sisältää DNA:ta ja missä aktivoiva alue käsittää kantasilmukkarakenteen; ja

(ii) a Cpf1,

missä Cpf1:llä ei ole nukleaasiaktiivisuutta; ja mainittuun menetelmään sisältyy kohdenukleiinihapon molekyylin, jolla on kohdesekvenssi, asettaminen in vivo kosketukseen CRISPR järjestelmän kanssa, missä Cpf1 sitoutuu yksittäisen polynukleotidin aktivoivaan alueeseen, missä yksittäisen polynukleotidin kohdentava alue hybridisoituu kohdesekvenssiin ja missä vähintään yhden geenin transkriptio kohdenukleiinihapon molekyylissä moduloidaan.

10. Menetelmä tai CRISPR järjestelmä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 5 - 9 mukaisesti, missä kohdentava alue ja/tai aktivoiva alue käsittää DNA:n ja RNA:n seoksen.

11. Menetelmä tai CRISPR-järjestelmä käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 5 - 10 mukaisesti, missä solu, jossa menetelmä tapahtuu, valitaan ryhmästä, joka koostuu bakteerisolusta, arkeaalisesta solusta, kasvisolusta, leväsolusta, sienisolusta, selkärangattoman solusta, selkärangaisen solusta, nisäkässolusta ja ihmisen solusta.

12. Jonkin patenttivaatimuksista 1 - 2 yksittäinen luokan 2 CRISPR polynukleotidi, jonkin patenttivaatimuksista 3 - 4 luokan 2 CRISPR järjestelmä, tai jonkin patenttivaatimuksista 5 - 11 menetelmät tai CRISPR järjestelmät käytettäväksi, missä Cpf1 on peräisin Francisella novicida U112 tai Acidaminococcus sp. BV3L6 bakteerista.