

【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 3 部門第 2 区分  
【発行日】令和 6 年 7 月 23 日(2024.7.23)

【公開番号】特開 2024-10112(P2024-10112A)  
【公開日】令和 6 年 1 月 23 日(2024.1.23)  
【年通号数】公開公報(特許)2024-013  
【出願番号】特願 2023-183886(P2023-183886)  
【国際特許分類】

C 0 7 K 1 4 / 4 1 5 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

10

C 1 2 N 1 5 / 0 9 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

【 F I 】

C 0 7 K 1 4 / 4 1 5 Z N A

C 1 2 N 1 5 / 0 9 Z

【手続補正書】

【提出日】令和 6 年 7 月 12 日(2024.7.12)

【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

20

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

PPR 蛋白質を含む組成物であって、

前記 PPR 蛋白質が結合可能な標的配列を有する RNA の、翻訳、スプライシング、及び安定性からなる群より選択されるいずれかの改変を介した疾患の処置に用いるための組成物であり、

前記 PPR 蛋白質が、下記式 1 で表される 30 ~ 38 アミノ酸長のポリペプチドである PPR モチーフを 2 ~ 20 個含むものであり

30

【化 1】

(Helix A)-X-(Helix B)-L (式1)

(式 1 中：

Helix A は、12 アミノ酸長の、ヘリックス構造を形成可能な部分であって、

式 2：

【化 2】

A<sub>1</sub>-A<sub>2</sub>-A<sub>3</sub>-A<sub>4</sub>-A<sub>5</sub>-A<sub>6</sub>-A<sub>7</sub>-A<sub>8</sub>-A<sub>9</sub>-A<sub>10</sub>-A<sub>11</sub>-A<sub>12</sub> (式2)

40

(式 2 中、A<sub>1</sub> ~ A<sub>12</sub> はそれぞれ独立にアミノ酸を表す) で表され、

式 1 中 X は、存在しないか又は 1 ~ 9 アミノ酸長からなる部分であり、

式 1 中 Helix B は、11 ~ 13 アミノ酸長からなる、ヘリックス構造を形成可能な部分であり、

式 1 中 L は、2 ~ 7 アミノ酸長の、式 3：

【化 3】

L<sub>vii</sub>-L<sub>vi</sub>-L<sub>v</sub>-L<sub>iv</sub>-L<sub>iii</sub>-L<sub>ii</sub>-L<sub>i</sub> (式3)

50

(式3中、各アミノ酸は、“i”(-1)、“ii”(-2)、とC末端側からナンバリングされ、ただし、 $L_{iii} \sim L_{vii}$ は存在しない場合がある。)、

前記標的配列を有するRNA中の一のRNA塩基と、それに選択的に結合する、前記PPR蛋白質中のPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、下記のいずれかであることを特徴とする、組成物。

(3-1) U(ウラシル)に選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、バリン、アスパラギン、アスパラギン酸である；

(3-2) A(アデニン)に選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、バリン、トレオニン、アスパラギンである；

(3-3) C(シトシン)に選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、バリン、アスパラギン、アスパラギンである組み合わせ；

(3-4) G(グアニン)に選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、グルタミン酸、グリシン、アスパラギン酸である；

(3-5) C又はUに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、イソロイシン、アスパラギン、アスパラギンである；

(3-6) Gに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、バリン、トレオニン、アスパラギン酸である；

(3-7) Gに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、リジン、トレオニン、アスパラギン酸である；

(3-8) Aに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、フェニルアラニン、セリン、アスパラギンである；

(3-9) Cに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、バリン、アスパラギン、セリン、の場合である；

(3-10) Aに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、フェニルアラニン、トレオニン、アスパラギンである；

(3-11) U又はAに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、イソロイシン、アスパラギン、アスパラギン酸である；

(3-12) Aに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、トレオニン、トレオニン、アスパラギンである；

(3-13) U又はCに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、イソロイシン、メチオニン、アスパラギン酸である；

(3-14) Uに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、フェニルアラニン、プロリン、アスパラギン酸である；

(3-15) Uに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、チロシン、プロリン、アスパラギン酸である；

(3-16) Gに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、順に、ロイシン、トレオニン、アスパラギン酸である。

#### 【請求項2】

PPR蛋白質を含む組成物であって、

前記PPR蛋白質が結合可能な標的配列を有するRNAの、翻訳、スプライシング、及び安定性からなる群より選択されるいずれかの改変を介した疾患の処置に用いるための組成物であり、

前記PPR蛋白質が、請求項1に定義した式1で表される30～38アミノ酸長のポリペプチドであるPPRモチーフを2～20個含むものであり、

前記標的配列を有するRNA中の一のRNA塩基と、それに選択的に結合する、前記PPR蛋白質中のPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ii}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、下記

のいずれかであることを特徴とする、組成物。

(2-1) Uに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、アスパラギン、アスパラギン酸である；

(2-2) Cに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、アスパラギン、アスパラギンである組み合わせ；

(2-3) Aに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、トレオニン、アスパラギンである；

(2-4) Gに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、トレオニン、アスパラギン酸である；

(2-5) Aに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、セリン、アスパラギンである； 10

(2-6) Gに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、グリシン、アスパラギン酸である；

(2-7) Cに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、アスパラギン、セリンである；

(2-8) Uに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、プロリン、アスパラギン酸である；

(2-9) Aに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、グリシン、アスパラギンである；

(2-10) Uに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、メチオニン、アスパラギン酸である； 20

(2-11) Cに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、ロイシン、アスパラギン酸である；

(2-12) Uに選択的に結合するPPRモチーフを構成する $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、順に、バリン、トレオニンである。

#### 【請求項3】

前記PPR蛋白質が、式1で表されるPPRモチーフを2～16個含む、請求項1又は2に記載の組成物。

#### 【請求項4】

PPR蛋白質を含む組成物であって、

前記PPR蛋白質が結合可能な標的配列を有するRNAの、翻訳、スプライシング、及び安定性からなる群より選択されるいずれかの改変を介した疾患の処置に用いるための組成物であり、

前記PPR蛋白質が、請求項1に定義した式1で表される30～38アミノ酸長のポリペプチドであるPPRモチーフを2～20個含むものであり、

$A_1$ 、 $A_4$ 、及び $L_{ij}$ の3つのアミノ酸の組み合わせが、前記標的配列を有するRNA中の一のRNA塩基に応じ、請求項1に定義した(3-1)～(3-16)のいずれかであることを特徴とする、組成物。

#### 【請求項5】

PPR蛋白質を含む組成物であって、

前記PPR蛋白質が結合可能な標的配列を有するRNAの、翻訳、スプライシング、及び安定性からなる群より選択されるいずれかの改変を介した疾患の処置に用いるための組成物であり、

前記PPR蛋白質が、請求項1に定義した式1で表される30～38アミノ酸長のポリペプチドであるPPRモチーフを2～20個含むものであり、

$A_4$ 、及び $L_{ij}$ の2つのアミノ酸の組み合わせが、前記標的配列を有するRNA中の一のRNA塩基に応じ、請求項2に定義した(2-1)～(2-12)のいずれかであることを特徴とする、組成物。

#### 【請求項6】

前記PPR蛋白質が、式Iで表されるPPRモチーフを2～16個含む、請求項4又は5に記

10

20

30

40

50

載の組成物。

10

20

30

40

50