

【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】平成30年2月8日(2018.2.8)

【公表番号】特表2017-506898(P2017-506898A)

【公表日】平成29年3月16日(2017.3.16)

【年通号数】公開・登録公報2017-011

【出願番号】特願2016-553505(P2016-553505)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/09	(2006.01)
C 1 2 N	5/10	(2006.01)
C 1 2 N	5/074	(2010.01)
C 1 2 N	5/0775	(2010.01)
C 1 2 N	5/0789	(2010.01)
C 1 2 N	5/0797	(2010.01)
C 1 2 N	9/16	(2006.01)
A 6 1 K	35/12	(2015.01)
A 6 1 K	35/545	(2015.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)

【F I】

C 1 2 N	15/00	A
C 1 2 N	5/10	
C 1 2 N	5/074	
C 1 2 N	5/0775	
C 1 2 N	5/0789	
C 1 2 N	5/0797	
C 1 2 N	9/16	A
A 6 1 K	35/12	
A 6 1 K	35/545	
A 6 1 P	43/00	1 0 5

【手続補正書】

【提出日】平成29年12月25日(2017.12.25)

【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】

単離された細胞の標的配列に外因性配列を組み込む方法であって、(i)前記標的配列を切断する1つまたは複数のヌクレアーゼ、および(ii)前記1つまたは複数のヌクレアーゼによる前記標的配列の切断後に前記標的配列に組み込まれる1つまたは複数のドナー配列を前記細胞に逐次的に投与するステップを含み、前記逐次的投与の間に少なくとも24時間の遅延がある、方法。

【請求項2】

前記逐次的投与の間の前記遅延が、24時間～72時間の間である、請求項1に記載の方法。

【請求項3】

前記1つまたは複数のヌクレアーゼが、前記1つまたは複数のドナー配列の前に投与さ

れる、請求項 1 または 2 に記載の方法。

【請求項 4】

前記 1 つまたは複数のドナー配列が、前記 1 つまたは複数のヌクレアーゼの前に投与される、請求項 1 または 2 に記載の方法。

【請求項 5】

前記 1 つまたは複数のヌクレアーゼが、メガヌクレアーゼ、ジンクフィンガーヌクレアーゼ (Z F N )、T A L E - ヌクレアーゼ (T A L E N ) または C R I S P R / C a s ヌクレアーゼ系を含む、請求項 1 から 4 のいずれかに記載の方法。

【請求項 6】

前記 1 つまたは複数のヌクレアーゼが、ニッカーゼである、請求項 5 に記載の方法。

【請求項 7】

前記 1 つもしくは複数のヌクレアーゼおよび / または前記 1 つもしくは複数のドナー配列が、プラスミド、ウイルスベクターを使用して、または R N A 、ミニサークルもしくは線状 D N A 形態で投与される、請求項 1 から 6 のいずれかに記載の方法。

【請求項 8】

前記 1 つもしくは複数のヌクレアーゼおよび / または前記 1 つもしくは複数のドナー配列が、ウイルスベクターを使用して投与される、請求項 3 に記載の方法。

【請求項 9】

前記ウイルスベクターが、A A V ベクターである、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 10】

前記 1 つまたは複数のヌクレアーゼが、R N A として投与される、請求項 4 に記載の方法。

【請求項 11】

前記 R N A が、m R N A である、請求項 1 0 に記載の方法。

【請求項 12】

前記 1 つまたは複数のドナー配列が、少なくとも 1 つのタンパク質産物を発現する、請求項 1 から 1 1 のいずれかに記載の方法。

【請求項 13】

前記タンパク質産物が、障害において非機能性である、欠損している、または異常に発現されるタンパク質の機能性バージョンである、請求項 1 2 に記載の方法。

【請求項 14】

前記標的配列が、内因性遺伝子座である、請求項 1 から 1 3 のいずれかに記載の方法。

【請求項 15】

前記内因性遺伝子座が、セーフハーバー遺伝子座である、請求項 1 4 に記載の方法。

【請求項 16】

被験体において欠如または欠損している機能性タンパク質を提供するための組成物であって、前記組成物は 1 つまたは複数のドナー配列を含み、前記組成物は、請求項 1 3 に記載の方法に従って前記 1 つまたは複数のドナー配列を単離された細胞に組み込むステップ、および前記単離された細胞を前記被験体に投与するステップを含む方法において使用されることを特徴とする、組成物。

【請求項 17】

前記細胞が幹細胞である、請求項 1 6 に記載の組成物。

【請求項 18】

被験体において欠如または欠損している機能性タンパク質を提供するための組成物であって、前記組成物は 1 つまたは複数のドナー配列を含み、前記組成物は、請求項 1 3 に記載の方法に従って前記 1 つまたは複数のドナー配列を前記被験体の細胞に組み込むのに使用されることを特徴とする、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】 0 0 2 8

【補正方法】 変更

【補正の内容】

【0 0 2 8】

これらの態様および他の態様は、全体としての本開示を考慮することにより当業者には容易に明らかとなる。

本発明の実施形態において、例えば以下の項目が提供される。

(項目1)

単離された細胞の標的配列に外因性配列を組み込む方法であって、(i)前記標的配列を切断する1つまたは複数のヌクレアーゼ、および(ii)前記1つまたは複数のヌクレアーゼによる前記標的配列の切断後に前記標的配列に組み込まれる1つまたは複数のドナー配列を逐次的に投与するステップを含み、前記逐次的投与の間に少なくとも24時間の遅延がある、方法。

(項目2)

前記逐次的投与の間の前記遅延が、24時間～72時間の間である、項目1に記載の方法。

(項目3)

前記1つまたは複数のヌクレアーゼが、前記1つまたは複数のドナー配列の前に投与される、項目1または2に記載の方法。

(項目4)

前記1つまたは複数のドナー配列が、前記1つまたは複数のヌクレアーゼの前に投与される、項目1または2に記載の方法。

(項目5)

前記1つまたは複数のヌクレアーゼが、メガヌクレアーゼ、ジンクフィンガーヌクレアーゼ(ZFN)、TALE-ヌクレアーゼ(TALEN)またはCRISPR/Casヌクレアーゼ系を含む、項目1から4のいずれかに記載の方法。

(項目6)

前記1つまたは複数のヌクレアーゼが、ニッカーゼである、項目5に記載の方法。

(項目7)

前記1つもしくは複数のヌクレアーゼおよび/または前記1つもしくは複数のドナー配列が、プラスミド、ウイルスベクターを使用して、またはRNA、ミニサークルもしくは線状DNA形態で投与される、項目1から6のいずれかに記載の方法。

(項目8)

前記1つもしくは複数のヌクレアーゼおよび/または前記1つもしくは複数のドナー配列が、ウイルスベクターを使用して投与される、項目3に記載の方法。

(項目9)

前記ウイルスベクターが、AAVベクターである、項目8に記載の方法。

(項目10)

前記1つまたは複数のヌクレアーゼが、RNAとして投与される、項目4に記載の方法。

(項目11)

前記RNAが、mRNAである、項目10に記載の方法。

(項目12)

前記1つまたは複数のドナー配列が、少なくとも1つのタンパク質産物を発現する、項目1から11のいずれかに記載の方法。

(項目13)

前記タンパク質産物が、障害において非機能性である、欠損している、または異常に発現されるタンパク質の機能性バージョンである、項目12に記載の方法。

(項目14)

前記標的配列が、内因性遺伝子座である、項目1から13のいずれかに記載の方法。

(項目15)

前記内因性遺伝子座が、セーフハーバー遺伝子座である、項目14に記載の方法。

(項目16)

被験体において欠如または欠損している機能性タンパク質を提供する方法であって、項目13に記載の方法に従って1つまたは複数のドナー配列を、単離された細胞に組み込むステップ、および前記単離された細胞を前記被験体に投与するステップを含む、方法。

(項目17)

前記細胞が幹細胞である、項目16に記載の方法。

(項目18)

被験体において欠如または欠損している機能性タンパク質を提供する方法であって、項目13に記載の方法に従って1つまたは複数のドナー配列を、前記被験体の細胞に組み込むステップを含む、方法。