

【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 18 年 6 月 8 日 (2006.6.8)

【公表番号】特表 2002-503477(P2002-503477A)

【公表日】平成 14 年 2 月 5 日 (2002.2.5)

【出願番号】特願 2000-531578(P2000-531578)

【国際特許分類】

**C 1 2 N 15/09 (2006.01)**

**A 6 1 K 35/76 (2006.01)**

**A 6 1 P 31/12 (2006.01)**

**C 1 2 N 9/00 (2006.01)**

C 0 7 K 14/155 (2006.01)

C 1 2 N 7/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A A

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 31/12

C 1 2 N 9/00

C 0 7 K 14/155

C 1 2 N 7/00

【手続補正書】

【提出日】平成 18 年 4 月 5 日 (2006.4.5)

【手続補正 1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】特許請求の範囲

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】 次の配列：

(i) ウイルス粒子の組立てに必要なウイルスポリペプチドをコードする第 2ヌクレオチド配列またはその転写産物に結合して、直接または間接的にそれを切断することができる遺伝子産物をコードする第 1ヌクレオチド配列、および

(ii) ウイルス粒子の組立てに必要な該ウイルスポリペプチドをコードする第 3ヌクレオチド配列であって、第 3ヌクレオチド配列またはその転写産物が該遺伝子産物により指令された切断に抵抗するように、第 2ヌクレオチド配列と異なるヌクレオチド配列を有する第 3ヌクレオチド配列、を含むウイルスベクター系。

【請求項 2】 次の配列：

(i) ウイルス粒子の組立てに必要なウイルスポリペプチドをコードする第 2ヌクレオチド配列またはその転写産物に結合して、直接または間接的にそれを切断することができる遺伝子産物をコードする第 1ヌクレオチド配列を少なくとも 1 つ含むウイルスゲノム、および

(ii) 該ウイルスゲノムのウイルス粒子への組立てに必要な該ウイルスポリペプチドをコードする第 3ヌクレオチド配列であって、第 3ヌクレオチド配列またはその転写産物が該遺伝子産物による切断に抵抗するように、第 2ヌクレオチド配列と異なるヌクレオチド配列を有する第 3ヌクレオチド配列、を含むウイルスベクター産生系。

【請求項 3】 前記遺伝子産物がリボザイムおよびアンチセンスリボ核酸から選択される

、請求項 1 または 2 記載の系。

【請求項 4】 前記ウイルスベクターがレトロウイルスベクターである、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 5】 レトロウイルスベクターがレンチウイルスベクターである、請求項 4 記載の系。

【請求項 6】 レンチウイルスベクターが HIV ベクターである、請求項 5 記載の系。

【請求項 7】 ウイルス粒子の組立てに必要な前記ポリペプチドが gag、pol および env タンパク質から選択される、請求項 4 ~ 6 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 8】 少なくとも gag および pol タンパク質がレンチウイルス由来のものである、請求項 7 記載の系。

【請求項 9】 env タンパク質がレンチウイルス由来のものである、請求項 7 記載の系。

【請求項 10】 レンチウイルスが HIV である、請求項 8 または 9 記載の系。

【請求項 11】 第 3 ヌクレオチド配列が、少なくとも 1 つの遺伝子産物により認識される切断部位および / または少なくとも 1 つの遺伝子産物の結合部位を取り除くヌクレオチド配列の 1 以上の保存的変化の結果として、該遺伝子産物による切断に抵抗する、請求項 1 ~ 10 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 12】 第 3 ヌクレオチド配列が少なくとも 1 つの遺伝子産物による切断に抵抗するように改変される、請求項 1 ~ 10 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 13】 第 3 ヌクレオチド配列がプロデューサー細胞内での発現のためにコドン最適化されている、請求項 1 ~ 12 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 14】 プロデューサー細胞が哺乳動物細胞である、請求項 13 記載の系。

【請求項 15】 複数の第 1 ヌクレオチド配列および第 3 ヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 14 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 16】 請求項 2 ~ 15 のいずれか 1 項記載のウイルスベクターゲノムおよび請求項 2 ~ 15 のいずれか 1 項記載の 1 以上の第 3 ヌクレオチド配列を含むウイルス粒子。

【請求項 17】 請求項 2 ~ 15 のいずれか 1 項記載のウイルスベクター産生系を用いて産生されたウイルス粒子。

【請求項 18】 宿主細胞に、(i) 請求項 2 ~ 15 のいずれか 1 項記載のウイルスゲノム、(ii) 請求項 2 ~ 15 のいずれか 1 項記載の 1 以上の第 3 ヌクレオチド配列、および (iii) 1 以上の第 3 ヌクレオチド配列によってコードされない他の必須ウイルスパッケージング成分をコードするヌクレオチド配列を導入することを含む、ウイルス粒子の産生方法。

【請求項 19】 請求項 18 記載の方法により産生されたウイルス粒子。

【請求項 20】 請求項 16、17 または 19 記載のウイルス粒子を製薬上許容される担体または希釈剤と共に含有する医薬組成物。

【請求項 21】 ウイルス感染の治療における請求項 1 ~ 16 のいずれか 1 項記載のウイルス系または請求項 16、17 または 19 記載のウイルス粒子。

【請求項 22】 ウイルス粒子を産生する方法において使用するための請求項 1 ~ 16 のいずれか 1 項記載のウイルス系。

【請求項 23】 プロデューサー細胞内での発現のためにコドン最適化されている、レトロウイルス gag および pol タンパク質をコードするヌクレオチド配列。

【請求項 24】 プロデューサー細胞が哺乳動物細胞である、請求項 23 記載のヌクレオチド配列。

【請求項 25】 gag および pol タンパク質がレンチウイルスタンパク質である、請求項 23 または 24 記載のヌクレオチド配列。

【請求項 26】 gag および pol タンパク質が HIV タンパク質である、請求項 25 記載のヌクレオチド配列。

【請求項 27】 図 4 のコドン使用頻度表を用いた野生型ヌクレオチド配列のコドン最適化により誘導された、請求項 23 ~ 26 のいずれか 1 項記載のヌクレオチド配列。

【請求項 28】 配列番号 2 に示される配列を有する、請求項 23 ~ 27 のいずれか 1 項記載のヌクレオチド配列。

【請求項 29】 対象のヌクレオチド配列、およびウイルス粒子の組立てに必要なウイルスポリペプチドをコードする請求項 23 ~ 28 のいずれか 1 項記載のヌクレオチド配列を含むウイルスベクター系。

【請求項 30】 少なくとも 1 つの対象のヌクレオチド配列を含むウイルスゲノム、および該ウイルスゲノムのウイルス粒子への組立てに必要なウイルスポリペプチドをコードする請求項 23 ~ 28 のいずれか 1 項記載のヌクレオチド配列を含むウイルス産生系。

【請求項 31】 ウイルスベクターがレトロウイルスベクターである、請求項 29 または 30 記載の系。

【請求項 32】 レトロウイルスベクターがレンチウイルスベクターである、請求項 31 記載の系。

【請求項 33】 レンチウイルスベクターが実質的に HIV-1 に由来するものである、請求項 29 ~ 32 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 34】 ウイルス粒子の組立てに必要なペプチドがエンベロープタンパク質を含む、請求項 29 ~ 33 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 35】 エンベロープ遺伝子がコドン最適化されている、請求項 34 記載の系。

【請求項 36】 対象のヌクレオチドが治療遺伝子、マーカー遺伝子および選択遺伝子から選択される、請求項 29 ~ 35 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 37】 rev が存在しないか機能性でない、請求項 29 ~ 36 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 38】 ウイルス粒子の産生方法において使用するための請求項 29 ~ 37 のいずれか 1 項記載の系。

【請求項 39】 プロデューサー細胞に、

請求項 30 ~ 37 のいずれか 1 項記載のウイルスゲノム、

請求項 23 ~ 28 のいずれか 1 項記載の 1 以上のヌクレオチド配列、および

(ii) の 1 以上のヌクレオチド配列によってコードされない他の必須ウイルスパッケージング成分をコードするヌクレオチド配列、  
を導入することを含む、ウイルス粒子の産生方法。

【請求項 40】 請求項 30 ~ 37 のいずれか 1 項記載の産生系または請求項 39 記載の方法により産生されたウイルス粒子。

【請求項 41】 ウイルス感染を治療するための請求項 29 ~ 38 のいずれか 1 項記載のウイルス系または請求項 40 記載のウイルス粒子。

【請求項 42】 請求項 29 ~ 38 のいずれか 1 項記載のウイルス系または請求項 40 記載のウイルス粒子を製薬上許容される担体もしくは希釈剤と共に含有する医薬組成物。

【請求項 43】 Rev 非依存性である請求項 1 に記載のウイルスベクター系。

【請求項 44】 Rev および/または RRE を欠いている請求項 1 に記載のウイルスベクター系