

【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 5 年 10 月 31 日(2023.10.31)

【公開番号】特開 2023-88902(P2023-88902A)

【公開日】令和 5 年 6 月 27 日(2023.6.27)

【年通号数】公開公報(特許)2023-119

【出願番号】特願 2023-20149(P2023-20149)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/864(2006.01)

10

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

C 1 2 N 1/15(2006.01)

C 1 2 N 1/19(2006.01)

C 1 2 N 1/21(2006.01)

C 1 2 N 5/10(2006.01)

C 1 2 N 7/01(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 P 27/02(2006.01)

20

【F I】

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/12 Z N A

C 1 2 N 15/63 Z

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 7/01

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 27/02

30

【手続補正書】

【提出日】令和 5 年 10 月 20 日(2023.10.20)

【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】

40

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

組換えアデノ随伴ウイルス(rAAV)であって、

(i) 配列番号 3 に記載のアミノ酸配列を含むか、または配列番号 3 に記載のアミノ酸配列からなる CEP 290 タンパク質フラグメントをコードする rAAV ベクター、ここで CEP 290 タンパク質フラグメントは、配列番号 1 の 700 個以下の連続したアミノ酸を含み、CEP 290 タンパク質フラグメントは、配列番号 1 の 1695 ~ 1966 の位置のアミノ酸を欠いている、および

(ii) 1 つ以上の AAV カプシドタンパク質を含む、前記 rAAV。

50

【請求項 2】

C E P 2 9 0 タンパク質フラグメントが、配列番号 1 の少なくとも 5 0 0 個の連続したアミノ酸を含む、請求項 1 に記載の r A A V。

【請求項 3】

C E P 2 9 0 タンパク質フラグメントが、配列番号 6 に記載の配列によりコードされる、請求項 1 または 2 に記載の r A A V。

【請求項 4】

プロモーターをさらに含む、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の r A A V。

【請求項 5】

プロモーターが、ニワトリベータ - アクチン (C B A) プロモーターであるか、または 10
、目特異的プロモーター、レチノスキシンプロモーター、K 1 2 プロモーター、ロドプシンプロモーター、桿体特異的プロモーター、錐体特異的プロモーター、ロドプシンキナーゼプロモーター、または光受容器間レチノイド結合タンパク質近位 (I R B P) プロモーターからなる群から選択される組織特異的プロモーターである、請求項 4 に記載の r A A V。

【請求項 6】

r A A V ベクターが、A A V 2 I T R s をさらに含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の r A A V。

【請求項 7】

A A V ブシドタンパク質の少なくとも 1 つが、A A V 5 カブシドタンパク質または A A 20
V 8 カブシドタンパク質である、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の r A A V。

【請求項 8】

A A V ブシドタンパク質の少なくとも 1 つが、配列番号 9 に記載の配列を含む、請求項 7 に記載の r A A V。

【請求項 9】

r A A V が、自己相補的な A A V (s c A A V) である、請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の r A A V。

【請求項 1 0】

眼の繊毛関連疾患をそれを必要としている対象において処置する方法に使用するための、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の r A A V。 30

【請求項 1 1】

投与が、網膜下注射を含む、請求項 1 0 に記載の使用のための r A A V。

【請求項 1 2】

対象が、C E P 2 9 0 遺伝子における 1 つ以上の突然変異または C E P 2 9 0 遺伝子の欠失を含む、請求項 1 0 または 1 1 に記載の使用のための r A A V。

【請求項 1 3】

突然変異または欠失が、網膜変性症、光受容体の変性、網膜の機能障害、または視力の喪失をもたらす、請求項 1 2 に記載の使用のための r A A V。

【請求項 1 4】

眼の繊毛関連疾患が、レーバー先天黒内障 (L C A)、ジュベール症候群、バルデ・ビードル症候群、メッケル・グルーバー症候群、アッシャー症候群、ネフロン癆、またはセニオール・ローケン症候群である、請求項 1 0 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の使用のための r A A V。 40

【請求項 1 5】

眼の繊毛関連疾患が、レーバー先天黒内障 (L C A) である、請求項 1 4 に記載の使用のための r A A V。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】配列表

【補正方法】変更

【補正の内容】

【配列表】

2023088902000001.xml

10

20

30

40

50