

【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29年2月16日(2017.2.16)

【公表番号】特表2016-501531(P2016-501531A)

【公表日】平成28年1月21日(2016.1.21)

【年通号数】公開・登録公報2016-005

【出願番号】特願2015-547543(P2015-547543)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/09	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
A 6 1 K	35/76	(2015.01)
A 6 1 K	35/761	(2015.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)

【F I】

C 1 2 N	15/00	Z N A A
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	31/7088	
A 6 1 K	35/76	
A 6 1 K	35/761	
A 6 1 P	43/00	1 1 1

【手続補正書】

【提出日】平成29年1月11日(2017.1.11)

【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】

1つ以上の遺伝子産物の発現を変更する方法であって、前記1つ以上の遺伝子産物をコードするDNA分子を含有及び発現する非ヒト真核生物中に、Casタンパク質と、前記DNA分子を標的とする1つ以上のガイドRNAとを含むエンジニアリングされた、天然に存在しないCRISPR-Cas系を導入することを含み、それによって、前記1つ以上のガイドRNAが、前記1つ以上の遺伝子産物をコードする前記DNA分子のゲノム遺伝子座を標的とし、前記Casタンパク質が、前記1つ以上の遺伝子産物をコードする前記DNA分子の前記ゲノム遺伝子座を開裂し、それによって、前記1つ以上の遺伝子産物の発現が変更され；前記Casタンパク質及び前記ガイドRNAが、いっしょに天然に存在しない、方法。

【請求項2】

前記1つ以上の遺伝子産物をコードするDNA分子を含有及び発現する非ヒト真核生物中に、エンジニアリングされた、天然に存在しないベクター系を導入することを含み、前記ベクター系が、

a) 前記1つ以上の遺伝子産物をコードする前記DNA分子のゲノム遺伝子座における標的配列にハイブリダイズする1つ以上のCRISPR-Cas系ガイドRNAをコードする1つ以上のヌクレオチド配列に作動可能に結合している第1の調節エレメント、

b) Casタンパク質をコードするヌクレオチド配列に作動可能に結合している第2の調節エレメント

を含む 1 つ以上のベクターを含み、

成分 (a) 及び (b) が、前記系の同じ又は異なるベクター上に位置し、

それによって、前記ガイド R N A が、前記 1 つ以上の遺伝子産物をコードする前記 D N A 分子の前記ゲノム遺伝子座を標的とし、前記 C a s タンパク質が、前記 1 つ以上の遺伝子産物をコードする前記 D N A 分子の前記ゲノム遺伝子座を開裂し、それによって、前記 1 つ以上の遺伝子産物の発現が変更され；前記 C a s タンパク質及び前記ガイド R N A が、いっしょに天然に存在しない、

請求項 1 に記載の方法。

【請求項 3】

前記 C a s タンパク質が、 I I 型 C a s タンパク質である、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 4】

前記 C a s タンパク質が、 C a s 9 タンパク質である、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 5】

前記 C a s タンパク質が、真核細胞における発現のためにコドン最適化されている、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 6】

前記系の前記ベクター又は前記 C a s タンパク質が、1 つ以上の N L S (複数の場合もあり) をさらに含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 7】

前記 C a s タンパク質が、触媒ドメインにおける 1 つ以上の突然変異、好ましくは R u v C I 、 R u v C I I 又は R u v C I I I 触媒ドメインにおける 1 つ以上の突然変異を含む、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 8】

前記ガイド R N A が、ガイド配列、 t r a c r 配列及び t r a c r メイト配列を含む、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 9】

前記ガイド R N A が、 t r a c r 配列に融合したガイド配列を含む、請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 10】

前記非ヒト真核生物が、哺乳動物である、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 11】

前記 1 つ以上のベクターが、ウイルスベクターである、請求項 2 ~ 1 0 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 12】

前記 1 つ以上のウイルスベクターが、レトロウイルス、レンチウイルス、アデノウイルス、アデノ随伴及び単純ヘルペスウイルスベクターからなる群から選択される、請求項 1 1 に記載の方法。

【請求項 13】

前記 1 つ以上の遺伝子産物の発現が減少する、請求項 1 ~ 1 2 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 14】

請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の方法によって得ることができる非ヒト真核生物。

【請求項 15】

前記真核生物が、哺乳動物である、請求項 1 4 に記載の非ヒト真核生物。