

【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3年7月26日(2021.7.26)

【公表番号】特表2020-529391(P2020-529391A)

【公表日】令和2年10月8日(2020.10.8)

【年通号数】公開・登録公報2020-041

【出願番号】特願2019-565215(P2019-565215)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 39/395 (2006.01)

A 6 1 K 39/00 (2006.01)

A 6 1 P 37/04 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 7/01 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/76 Z N A

A 6 1 K 39/395 D

A 6 1 K 39/00 H

A 6 1 P 37/04

A 6 1 K 31/713

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/113 Z

C 1 2 N 7/01

【手続補正書】

【提出日】令和3年5月26日(2021.5.26)

【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つ以上のパッケージングシグナルを含むウイルス様粒子の集合に使用するための人工核酸カセットであって、2つ以上のパッケージングシグナルが連続して配置され、核酸によって分離されていて、前記パッケージングシグナルが、同種ウイルスカプシドタンパク質のためのヌクレオチド結合モチーフを含む核酸ループドメイン、及び分子内塩基対合による二本鎖領域を含む核酸ステムドメインを含み、

a) 核酸パッケージングシグナルがB型肝炎ウイルスから単離され、かつ、前記ヌクレオチド結合モチーフがヌクレオチド配列 R G A G を含み、配列中、R が G または A のいずれかであるか、または

b) 核酸パッケージングシグナルがタバコ壊死サテライトウイルスから単離され、かつ、前記ヌクレオチド結合モチーフがヌクレオチド配列 A X X A または A X X X A を含み、配列中、X が任意のヌクレオチド塩基であり、かつ

前記人工核酸カセットが、複数の同種ウイルスカプシドタンパク質と接触すると、前記同

種ウイルスカプシドタンパク質を集合させて V L P にして、V L P 内に含有される前記核酸パッケージングシグナルをリボヌクレアーゼ消化から保護する、人工核酸カセット。

【請求項 2】

前記人工核酸カセットが、非複製核酸である、及び/または、前記 V L P が、動物対象に投与される場合、天然ウイルス粒子の免疫応答に類似した免疫応答を誘発する、請求項 1 に記載の人工核酸カセット。

【請求項 3】

前記人工核酸カセットが、タンパク質をコードする核酸を含まない、請求項 1 または 2 に記載の人工核酸カセット。

【請求項 4】

前記人工核酸カセットが、少なくとも 2 つ、3 つ、4 つまたは 5 つの核酸パッケージングシグナルを含む、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の人工核酸カセット。

【請求項 5】

前記核酸パッケージングシグナルを分離させる非コードウイルス核酸が、少なくとも 5 ~ 5 0 ヌクレオチド長である、または、5 0 超のヌクレオチド長である、請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載の人工核酸カセット。

【請求項 6】

i) 前記カプシド結合モチーフを含む前記ループドメインが、少なくとも 4 ヌクレオチド長である、

ii) 前記ステムドメインが、少なくとも 5 塩基対 (b p) 長である、

iii) 前記人工核酸カセットが、少なくとも 5 0 ヌクレオチド長である、または

iv) 前記核酸カセットが、5 0 ~ 1 0 0 0 ヌクレオチド長である、

請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項に記載の人工核酸カセット。

【請求項 7】

前記人工核酸カセットが、少なくとも 2 または 3 つの B 型肝炎ウイルスパッケージングシグナルを含み、前記核酸パッケージングシグナルのうち 1 つ以上が、前記ヌクレオチド結合モチーフ R G A G を含む、請求項 1 に記載の人工核酸カセット。

【請求項 8】

前記核酸カセットが、B 型肝炎で同定された前記パッケージングシグナルのうち少なくとも 1 つを含み、前記核酸パッケージングシグナルの各々が、前記結合モチーフ R G A G を含む、請求項 7 に記載の人工核酸カセット。

【請求項 9】

前記人工核酸カセットが、

i) ヌクレオチド配列 G U U U G U U U A A A G A C U G G G A G G A G U U G G G G G A G G A G [配列番号： 1] を含む核酸分子、

ii) 配列番号： 1 に示される前記ヌクレオチド配列と少なくとも 2 5 % 同一であり、ヌクレオチド結合モチーフ G G G A G G を含むヌクレオチド配列を含む核酸分子、

iii) ヌクレオチド配列 G G G C C C U C U G A C A G U U A A U G A A A A A G G A G A U U A A A A U U A A U U A U G C C U [配列番号： 2] を含む核酸分子、

iv) 配列番号： 2 に示される前記ヌクレオチド配列と少なくとも 2 5 % 同一であり、ヌクレオチド結合モチーフ G A A A A A G G A G を含むヌクレオチド配列を含む核酸分子、

v) ヌクレオチド配列 G G C U G G C A U U C U A U A U A A G A G A G A A A C U A C A C G C [配列番号： 3] を含む核酸分子、

vi) 配列番号： 3 に示される前記ヌクレオチド配列と少なくとも 2 5 % 同一であり、ヌクレオチド結合モチーフ A U A U A A G A G を含むヌクレオチド配列を含む核酸分子、

vii) 配列番号： 1 及び/または配列番号： 2 及び/または配列番号： 3 を含むヌクレオチド配列

からなる群から選択されるヌクレオチド配列を含む、請求項 7 または 8 に記載の人工核酸カセット。

【請求項 1 0】

前記人工核酸カセットが、配列番号4：CUGGGAGGAGUUGGGGGAGGA GAUUAAGGUUAAAGGUCUUUGUACUAGGAGGCUGUAGGCを含むヌクレオチド配列を含む、請求項8に記載の人工核酸カセット。

【請求項11】

前記人工核酸カセットが、

- i) 配列番号：5に示されるヌクレオチド配列を含む核酸分子、
 - ii) 配列番号：5に示される前記ヌクレオチド配列と少なくとも25%同一であり、ヌクレオチド結合モチーフAXXAを含むヌクレオチド配列を含む核酸分子、
 - iii) 配列番号：6に示されるヌクレオチド配列を含む核酸分子、
 - iv) 配列番号：6に示される前記ヌクレオチド配列と少なくとも25%同一であり、ヌクレオチド結合モチーフAXXAを含むヌクレオチド配列を含む核酸分子、
 - v) 配列番号：7に示されるヌクレオチド配列を含む核酸分子、
 - vi) 配列番号：7に示される前記ヌクレオチド配列と少なくとも25%同一であり、ヌクレオチド結合モチーフAXXAを含むヌクレオチド配列を含む核酸分子、
 - vii) 配列番号：8に示されるヌクレオチド配列を含む核酸分子、
 - viii) 配列番号：8に示される前記ヌクレオチド配列と少なくとも25%同一であり、ヌクレオチド結合モチーフAXXAを含むヌクレオチド配列を含む核酸分子
- からなる群から選択されるヌクレオチド配列を含む、請求項1に記載の人工核酸カセット。

【請求項12】

前記人工核酸カセットが、

- i) ポリペプチドまたは機能性RNAをコードする核酸を転写するように適合させた核酸分子を含む転写カセット、
- ii) 前記ポリペプチドまたは機能性RNAをコードする前記核酸分子の発現を可能にするためのプロモーター配列及び終結配列、
- iii) 抗体または抗体断片などの治療用ポリペプチド、
- iv) 治療用ポリペプチドをコードするmRNA、アンチセンスオリゴヌクレオチドまたはsiRNA

をさらに含む、請求項1～11のいずれか1項に記載の人工核酸カセット。

【請求項13】

請求項1～12のいずれか1項に記載の人工核酸カセットを含む、ウイルス様粒子。

【請求項14】

請求項13に記載のウイルス様粒子を含み、任意にアジュバント及び/または担体をさらに含む、ワクチンまたは免疫原性組成物。

【請求項15】

請求項13に記載のウイルス様粒子を含み、かつ薬学的に許容される賦形剤を含む、医薬組成物。

【請求項16】

細胞への薬剤の送達に使用するための、請求項13に記載のウイルス様粒子。