

【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25年12月5日(2013.12.5)

【公表番号】特表2013-507934(P2013-507934A)

【公表日】平成25年3月7日(2013.3.7)

【年通号数】公開・登録公報2013-012

【出願番号】特願2012-534410(P2012-534410)

【国際特許分類】

C 12 N 15/113 (2010.01)

C 12 N 5/10 (2006.01)

A 61 K 48/00 (2006.01)

A 61 P 35/00 (2006.01)

【F I】

C 12 N 15/00 Z N A G

C 12 N 5/00 1 0 2

A 61 K 48/00

A 61 P 35/00

【手続補正書】

【提出日】平成25年10月15日(2013.10.15)

【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】

minivectorを含む核酸分子組成物であって、前記のminivectorが核酸配列をコードしており；

ここでminivectorはほとんど完全に細菌の配列を欠いており；および

ここでminivectorは約2,500bpまでの大きさである、前記組成物。

【請求項2】

請求項1に記載の組成物であって、minivectorによってコードされる核酸配列がタンパク質、タンパク質の部分、またはペプチドの発現をコードする遺伝子を含む、組成物。

【請求項3】

minivectorによってコードされる核酸配列がショートヘアピンRNA(shRNA)またはマイクロRNA(miRNA)を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項4】

その核酸配列が、所望のタンパク質；異なるDNA配列；RNA配列；および細胞膜からなるグループから選択される細胞構成要素により結合されることがあるDNAを含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項5】

請求項1～4のいずれかに記載の組成物であって、minivectorがさらに化学的部分、修飾された塩基または修飾された主鎖を含む、組成物。

【請求項6】

請求項1～5のいずれかに記載のminivectorを含む細胞。

【請求項7】

細胞が細菌細胞、真核細胞、及び古細菌細胞からなる群より選択される細胞である、請

求項 6 に記載の細胞。

【請求項 8】

請求項 1 ~ 5 のいずれかに記載の m i n i v e c t o r を細胞と接触させることを含む、細胞において遺伝子を発現させる方法。

【請求項 9】

請求項 8 に記載の方法であって、ここで細胞が菌細胞、真核細胞、及び古細菌細胞からなる群より選択される細胞である、方法。

【請求項 10】

請求項 8 に記載の方法であって、ここで細胞が哺乳類細胞であり、所望によりここで哺乳類細胞がヒト細胞である、方法。

【請求項 11】

遺伝子療法において用いるための、請求項 1 ~ 5 のいずれかに記載の核酸分子組成物。

【請求項 12】

細胞において遺伝子の発現をサイレンシングする方法であって、前記の細胞を m i n i v e c t o r と接触させることを含み、前記の m i n i v e c t o r が核酸配列をコードしており、その核酸配列がその遺伝子の発現をサイレンシングする、前記方法。

【請求項 13】

その核酸配列がショートヘアピン RNA (s h R N A) またはマイクロ RNA (m i R N A) を含む、請求項 12 に記載の方法。

【請求項 14】

療法上有効量の m i n i v e c t o r をそれを必要とする哺乳類に投与することを含み、その m i n i v e c t o r が核酸配列をコードしている、遺伝子療法の方法。

【請求項 15】

その核酸配列がショートヘアピン RNA (s h R N A) またはマイクロ RNA (m i R N A) を含む、請求項 14 に記載の方法。

【請求項 16】

哺乳類がヒトである、請求項 14 に記載の方法。