【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7年2月5日(2025.2.5)

【公開番号】特開2024-133657(P2024-133657A)
【公開日】令和6年10月2日(2024.10.2)
【年通号数】公開公報(特許)2024-184
【出願番号】特願2024-109621(P2024-109621)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ 15/864(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/12(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/63(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　5/10(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　1/21(2006.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ 15/8641００Ｚ
Ｃ１２Ｎ 15/12　　ＺＮＡ
Ｃ１２Ｎ 15/63　　Ｚ
Ｃ１２Ｎ　5/10
Ｃ１２Ｎ　1/21
Ｃ１２Ｎ 15/12

【手続補正書】
【提出日】令和7年1月20日(2025.1.20)
【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】
【特許請求の範囲】
【請求項１】
配列番号２４のヌクレオチド配列と少なくとも９０％、９５％、または９９％同一であるヌクレオチド配列を含む、ポリヌクレオチド。
【請求項２】
配列番号２４のヌクレオチド配列を含む、請求項１に記載のポリヌクレオチド。
【請求項３】
請求項１または２に記載のポリヌクレオチドを含む、プラスミド。
【請求項４】
組換えＡＡＶを生成する方法であって、請求項１～３のいずれか一項に記載のポリヌクレオチドを細胞に移入させることを含む、方法。
【請求項５】
パッケージングプラスミドおよび／またはヘルパーウイルスを前記細胞に移入させることをさらに含む、請求項４に記載の方法。
【請求項６】
前記細胞が、安定に組み込まれたＡＡＶ　ｃａｐ遺伝子を含む、請求項４または５に記載の方法。
【請求項７】
前記細胞が、安定に組み込まれたＡＡＶ　ｒｅｐ遺伝子を含む、請求項４～６のいずれか一項に記載の方法。
【請求項８】

前記ｒＡＡＶが、ＡＡＶ－１、ＡＡＶ－２、ＡＡＶ－３、ＡＡＶ－４、ＡＡＶ－５、ＡＡＶ－６、ＡＡＶ－７、ＡＡＶ－８、ＡＡＶ－９、ＡＡＶ－１０、ＡＡＶ－１１、ＡＡＶ－１２、ＡＡＶ－１３およびＡＡＶ　ｒｈ．７４のカプシドタンパク質、またはその変異体の１つまたは複数を含む、請求項４～７のいずれかに記載の方法。

【請求項９】

請求項１または２に記載のポリヌクレオチドを含む、単離された細胞。

【請求項１０】

請求項３に記載のプラスミドを含む、単離された細胞。

【請求項１１】

前記細胞が、昆虫細胞、カイコ細胞、蚊細胞、細菌細胞または哺乳動物細胞である、請求項９または１０に記載の単離された細胞。

【請求項１２】

前記細胞が、Ｓ２細胞、Ｋｃ細胞、Ｂｍｅ２１細胞、Ｃ６／３６細胞、２９３細胞、ＣＯＳ細胞、ＨｅＬａ細胞またはＫＢ細胞である、請求項９または１０に記載の単離された細胞。

【請求項１３】

配列番号１９の配列と同一であるヌクレオチド配列を含む、ｒＡＡＶ。

【請求項１４】

配列番号１９の配列と同一であるヌクレオチド配列を含む、ポリヌクレオチド。

【請求項１５】

請求項１４に記載のポリヌクレオチドを含むｒＡＡＶ。

【請求項１６】

前記ｒＡＡＶが、ＡＡＶ－１、ＡＡＶ－２、ＡＡＶ－３、ＡＡＶ－４、ＡＡＶ－５、ＡＡＶ－６、ＡＡＶ－７、ＡＡＶ－８、ＡＡＶ－９、ＡＡＶ－１０、ＡＡＶ－１１、ＡＡＶ－１２、ＡＡＶ－１３、ＡＡＶ　ｒｈ．７４、またはこれらの各々の変異体から選択されるｒＡＡＶ血清型のものである、請求項１５に記載のｒＡＡＶ。

【請求項１７】

前記ｒＡＡＶが、血清型ＡＡＶ　ｒｈ．７４またはその変異体のものである、請求項１６に記載のｒＡＡＶ。

【請求項１８】

請求項１５～１７のいずれか一項に記載のｒＡＡＶと薬学的に許容される担体とを含む、組成物。

【請求項１９】

緩衝剤と、イオン強度剤と、界面活性剤とをさらに含む、請求項１８に記載の組成物。

【請求項２０】

前記ｒＡＡＶが、約１．０×10^{12}ｖｇ／ｍｌ～約５．０×10^{14}ｖｇ／ｍｌ、または約５．０×10^{12}ｖｇ／ｍｌ～約１．０×10^{14}ｖｇ／ｍｌの濃度である、請求項１８または１９に記載の組成物。

【請求項２１】

前記緩衝剤は、トリス、トリシン、ビス－トリシン、ＨＥＰＥＳ、ＭＯＰＳ、ＴＥＳ、ＴＡＰＳ、ＰＩＰＥＳ、およびＣＡＰＳのうちの１つ以上を含む、請求項１９または２０に記載の組成物。

【請求項２２】

前記緩衝剤は、約５ｍＭ～約４０ｍＭの濃度でｐＨ８．０のトリスを含む、請求項１９または２０に記載の組成物。

【請求項２３】

前記緩衝剤は、約２０ｍＭでｐＨ８．０のトリスを含む、請求項１９または２０に記載の組成物。

【請求項２４】

前記イオン強度剤は、塩化カリウム（ＫＣｌ）、酢酸カリウム、硫酸カリウム、硫酸アン

モニウム、塩化アンモニウム（NH_4Cl）、酢酸アンモニウム、塩化マグネシウム（$MgCl_2$）、酢酸マグネシウム、硫酸マグネシウム、塩化マンガン（$MnCl_2$）、酢酸マンガン、硫酸マンガン、塩化ナトリウム（ＮａＣｌ）、酢酸ナトリウム、塩化リチウム（ＬｉＣｌ）、および酢酸リチウムのうちの１つ以上を含む、請求項１９～２３のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項２５】

前記イオン強度剤は、約０．２ｍＭ～約４ｍＭの濃度で$MgCl_2$を含む、請求項１９～２３のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項２６】

前記イオン強度剤は、約５０ｍＭ～約５００ｍＭの濃度でＮａＣｌを含む、請求項１９～２３のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項２７】

前記イオン強度剤は、約０．２ｍＭ～約４ｍＭの濃度で$MgCl_2$を、約５０ｍＭ～約５００ｍＭの濃度でＮａＣｌを含む、請求項１９～２３のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項２８】

前記イオン強度剤は、約１ｍＭの濃度で$MgCl_2$を、約２００ｍＭの濃度でＮａＣｌを含む、請求項１９～２３のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項２９】

前記界面活性剤は、スルホネート、サルフェート、ホスホネート、ホスフェート、ポロキサマー、およびカチオン性界面活性剤のうちの１つ以上を含む、請求項１９～２８のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項３０】

前記ポロキサマーは、ポロキサマー１２４、ポロキサマー１８１、ポロキサマー１８４、ポロキサマー１８８、ポロキサマー２３７、ポロキサマー３３１、ポロキサマー３３８、およびポロキサマー４０７のうちの１つ以上を含む、請求項２９に記載の組成物。

【請求項３１】

前記界面活性剤は、約０．０００００１％～約１％の濃度で前記ポロキサマーを含む、請求項１９～２９のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項３２】

前記界面活性剤は、約０．００１％の濃度でポロキサマー１８８を含む、請求項１９～２９のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項３３】

トリス（ｐＨ８．０）、塩化マグネシウム、塩化ナトリウム、およびポロキサマー１８８をさらに含む、請求項１８に記載の組成物。

【請求項３４】

請求項１４に記載のポリヌクレオチドを含む、単離された細胞。

【請求項３５】

前記細胞が、昆虫細胞、カイコ細胞、蚊細胞、細菌細胞または哺乳動物細胞である、請求項３４に記載の単離された細胞。

【請求項３６】

前記細胞が、Ｓ２細胞、Ｋｃ細胞、Ｂｍｅ２１細胞、Ｃ６／３６細胞、２９３細胞、ＣＯＳ細胞、ＨｅＬａ細胞またはＫＢ細胞である、請求項３４に記載の単離された細胞。