

【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21年9月10日 (2009.9.10)

【公表番号】特表2009-504156(P2009-504156A)

【公表日】平成21年2月5日 (2009.2.5)

【年通号数】公開・登録公報2009-005

【出願番号】特願2008-526046(P2008-526046)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 0 7 K 14/00 (2006.01)

C 0 7 K 7/06 (2006.01)

C 0 7 K 19/00 (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)

A 6 1 K 38/00 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

【 F I 】

C 1 2 N 15/00 Z N A A

C 0 7 K 14/00

C 0 7 K 7/06

C 0 7 K 19/00

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 5/00 A

A 6 1 K 37/02

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 P 43/00 1 0 5

【手続補正書】

【提出日】平成21年7月24日 (2009.7.24)

【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】

式 $C \underline{A} N_{\underline{1}}$ (式中、 $N_{\underline{1}}$ は C 又は T である)、式 $C C N_{\underline{2}}$ (式中、 $N_{\underline{2}}$ は A 又は T である)、あるいは式 $C T N_{\underline{3}}$ (式中、 $N_{\underline{3}}$ は A 又は T である) の標的ヌクレオチドに優先的に結合する ジンクフィンガーヌクレオチド結合領域を含む、天然に存在しないジンクフィンガーヌクレオチド結合ポリペプチド。

【請求項 2】

前記標的ヌクレオチド 配列 が、式 $C \underline{A} C$ 又は $C \underline{A} T$ を有する、請求項 1 に記載のポリペプチド。

【請求項 3】

前記標的ヌクレオチド配列が、式 C C A 又は C C T を有する、請求項 1 に記載のポリペプチド。

【請求項 4】

前記標的ヌクレオチド配列が、式 C T A 又は C T T を有する、請求項 1 に記載のポリペプチド。

【請求項 5】

前記結合領域が、配列番号 77 ~ 82、134、138、141 又は 146 の何れかのアミノ酸配列を有する、請求項 1 に記載のポリペプチド。

【請求項 6】

前記結合領域が、配列番号 77 ~ 82、134、138、141 又は 146 の何れかのアミノ酸配列と、2 個以下の保存的アミノ酸置換でしか異ならないアミノ酸配列結合領域であって、解離定数が該置換前のポリペプチドの解離定数の 125 % 以下であり、且つ保存的アミノ酸置換が、以下の置換：Ala / Gly 又は Ser ; Arg / Lys ; Asn / Gln 又は His ; Asp / Glu ; Cys / Ser ; Gln / Asn ; Gly / Asp ; Gly / Ala 又は Pro ; His / Asn 又は Gln ; Ile / Leu 又は Val ; Leu / Ile 又は Val ; Lys / Arg 又は Gln 又は Glu ; Met / Leu 又は Tyr 又は Ile ; Phe / Met 又は Leu 又は Tyr ; Ser / Thr ; Thr / Ser ; Trp / Tyr ; Tyr / Trp 又は Phe ; Val / Ile 又は Leu の 1 つである、アミノ酸配列結合領域、
を有する、請求項 1 に記載のポリペプチド。

【請求項 7】

前記ヌクレオチド結合領域が、S P 1 C、T F I I I A 及び Z i f 2 6 8 からなる群から選択される、天然に存在するジンクフィンガータンパク質の配列に結合している、請求項 1 に記載のポリペプチド。

【請求項 8】

請求項 1 に記載のポリペプチドを複数含むポリペプチド組成物であって、該ポリペプチドが互いに作動可能に結合している、ポリペプチド組成物。

【請求項 9】

前記ポリペプチドが、5 ~ 15 個のアミノ酸残基のフレキシブルペプチドリンカーを介して作動可能に結合する、請求項 8 に記載のポリペプチド組成物。

【請求項 10】

前記リンカーが配列番号 30 及び配列番号 133 からなる群から選択される配列を有する、請求項 8 に記載のポリペプチド組成物。

【請求項 11】

前記組成物が 2 ~ 12 個のポリペプチドを含む、請求項 8 に記載のポリペプチド組成物。

【請求項 12】

前記組成物が 2 ~ 6 個のポリペプチドを含む、請求項 11 に記載のポリペプチド組成物。

【請求項 13】

前記ヌクレオチド結合領域が、S P 1 C、T F I I I A 及び Z i f 2 6 8 からなる群から選択される、天然に存在するジンクフィンガータンパク質の配列に結合している、請求項 9 に記載のポリペプチド組成物。

【請求項 14】

1 個以上の転写調節因子と作動可能に結合されている、請求項 1 に記載のポリペプチドまたは請求項 8 に記載のポリペプチド組成物。

【請求項 15】

前記転写調節因子が転写のレプレッサーである、請求項 14 に記載のポリペプチドまたはポリペプチド組成物。

【請求項 16】

前記転写調節因子が転写のアクチベーターである、請求項 14 に記載のポリペプチドまたはポリペプチド組成物。

【請求項 17】

請求項 1 に記載のポリペプチド、請求項 8 に記載の組成物中の複数のポリペプチドのうちの 1 つをコードする、単離精製ポリヌクレオチド、またはそれらに少なくとも 95 % 同一な核酸配列であって、請求項 1 に記載のポリペプチドの特異的核酸結合活性を有するポリペプチドをコードする、核酸配列。

【請求項 18】

請求項 17 に記載の単離精製ポリヌクレオチドを含むベクター。

【請求項 19】

請求項 18 に記載のベクター又は請求項 17 に記載のポリヌクレオチドで形質転換又は形質導入した宿主細胞。

【請求項 20】

真核生物である、請求項 19 に記載の宿主細胞。

【請求項 21】

原核細胞である、請求項 19 に記載の宿主細胞。

【請求項 22】

配列 5' - (CNN)_n - 3' (式中、n は 2 ~ 12 である) を含有するヌクレオチド配列の発現を調節するプロセスであって、該ヌクレオチド配列を請求項 1 に記載のポリペプチド又は請求項 8 に記載のポリペプチド組成物の有効量に曝露することを含む、プロセス。

【請求項 23】

前記配列 5' - (CNN)_n - 3' が前記ヌクレオチド配列の転写領域に位置する、請求項 22 に記載のプロセス。

【請求項 24】

前記配列 5' - (CNN)_n - 3' が前記ヌクレオチド配列のプロモーター領域に位置する、請求項 22 に記載のプロセス。

【請求項 25】

前記配列 5' - (CNN)_n - 3' が発現配列タグ内に位置する、請求項 22 に記載のプロセス。

【請求項 26】

前記ポリペプチド組成物の少なくとも 1 つが 1 個以上の転写調節因子に作動可能に結合する、請求項 22 に記載のプロセス。

【請求項 27】

前記転写調節因子が転写のレプレッサーである、請求項 26 に記載のプロセス。

【請求項 28】

前記転写調節因子が転写のアクチベーターである、請求項 26 に記載のプロセス。

【請求項 29】

前記ヌクレオチド配列が遺伝子である、請求項 22 に記載のプロセス。

【請求項 30】

前記遺伝子が真核細胞遺伝子、原核細胞遺伝子又はウイルス遺伝子である、請求項 29 に記載のプロセス。

【請求項 31】

前記真核細胞遺伝子が哺乳動物遺伝子または植物遺伝子である、請求項 30 に記載のプロセス。

【請求項 32】

前記哺乳動物遺伝子がヒト遺伝子である、請求項 31 に記載のプロセス。

【請求項 33】

前記原核細胞遺伝子が細菌遺伝子である、請求項 30 に記載のプロセス。

【請求項 3 4】

(a) 治療有効量の請求項 1 に記載のポリペプチド、又は請求項 8 に記載のポリペプチド組成物；及び

(b) 薬学的に許容される担体を含む、薬学的組成物。

【請求項 3 5】

(a) 治療有効量の請求項 1 7 に記載のポリヌクレオチド；及び

(b) 薬学的に許容される担体を含む、薬学的組成物。