

【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5年6月27日(2023.6.27)

【国際公開番号】WO2020/102723

【公表番号】特表2022-507534(P2022-507534A)

【公表日】令和4年1月18日(2022.1.18)

【年通号数】公開公報(特許)2022-008

【出願番号】特願2021-526562(P2021-526562)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/55(2006.01)

C 1 2 N 15/861(2006.01)

C 1 2 N 7/01(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 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 35/761(2015.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 P 39/04(2006.01)

10

20

【F I】

C 1 2 N 15/55 Z N A

C 1 2 N 15/861 Z

C 1 2 N 7/01

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 5/10

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/761

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 P 39/04

30

【手続補正書】

【提出日】令和5年6月19日(2023.6.19)

【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66～68のいずれか1つに対して少なくとも80%、少なくとも85%、少なくとも90%、または少なくとも95%、または少なくとも100%の配列同一性を有する配列を含む調節エレメント、および

前記調節エレメントに作動可能に連結した治療用導入遺伝子をコードするヌクレオチド配列

40

50

を含む核酸分子。

【請求項 2】

前記治療用導入遺伝子が、A T P 7 A、A T P 7 B、A T P 8 B 1、A B C B 4、A B C B 1 1、C D K L 5、C N T N A P 2、Z E B 2、第 V 因子、第 V I I 因子、第 V I I I 因子、第 I X 因子、第 X 因子、第 X I 因子、もしくは第 X I I 因子、またはそれらのバリエーションもしくは機能的断片のうちいずれか 1 つをコードする、請求項 1 に記載の核酸分子。

【請求項 3】

前記治療用導入遺伝子が、肝臓における発現のためにコドン最適化されているバリエーションヌクレオチド配列を含む、および/または

前記治療用導入遺伝子が、A A V ベクターからの発現のために最適化されているバリエーションヌクレオチド配列を含む、請求項 1 または請求項 2 に記載の核酸分子。

【請求項 4】

前記調節エレメントがプロモーター配列であり、必要に応じて前記調節エレメントが 1 5 0 未満の b p、1 2 0 未満の b p または 1 0 5 未満の b p を有する、請求項 1 から 3 のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 5】

エンハンサー配列をさらに含む、請求項 1 から 4 のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 6】

前記調節エレメントが、哺乳動物細胞中で C M V プロモーターと比較して少なくとも 1 0 倍または少なくとも 5 0 倍大きな発現を生じる、請求項 1 から 5 のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 7】

ウイルスの 5' I T R および 3' I T R 配列をさらに含む、請求項 1 から 6 のいずれか一項に記載の核酸分子。

【請求項 8】

前記 5' I T R および 3' I T R 配列がアデノ随伴ウイルス (A A V) 配列、必要に応じて A A V 2、A A V 5、A A V 8、または A A V 9 である、請求項 7 に記載の核酸分子。

【請求項 9】

請求項 1 から 8 のいずれか一項に記載の核酸分子を含む発現ベクター。

【請求項 10】

ウイルスベクター、必要に応じて A A V ベクターである、請求項 9 に記載の発現ベクター。

【請求項 11】

請求項 1 から 8 のいずれか一項に記載の核酸分子または請求項 9 から 10 のいずれか一項に記載の発現ベクターを含むウイルス粒子であって、必要に応じて前記ウイルス粒子が A A V、必要に応じて A A V 5、A A V 8、または A A V 9、のカプシドタンパク質を含む、ウイルス粒子。

【請求項 12】

請求項 1 から 8 のいずれか一項に記載の核酸分子または請求項 9 から 10 のいずれか一項に記載の発現ベクターを含む宿主細胞。

【請求項 13】

請求項 1 から 8 のいずれか一項に記載の核酸分子、請求項 9 から 10 のいずれか一項に記載の発現ベクター、または請求項 11 に記載のウイルス粒子、および 1 つまたは複数の薬学的に許容される賦形剤を含む、医薬組成物。

【請求項 14】

請求項 11 に記載のウイルス粒子を産生するプロセスであって、

(i) 請求項 12 に記載の宿主細胞を培養培地中で培養すること、および

(i i) 細胞培養上清または前記宿主細胞から前記ウイルス粒子を回収すること

を含み、

10

20

30

40

50

必要に応じて前記宿主細胞が、(a) A A V r e p および / もしくは c a p 遺伝子をコードする核酸分子、ならびに / または (b) ウイルスヘルパー遺伝子を含む核酸分子をさらに含む、プロセス。

【請求項 15】

ウイルス粒子の産生のための、請求項 1 から 8 のいずれか一項に記載の核酸分子または請求項 9 から 10 のいずれか一項に記載の発現ベクターの使用。

10

20

30

40

50