

【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4年5月25日(2022.5.25)

【国際公開番号】WO2019/016680  
 【公表番号】特表2020-530765(P2020-530765A)  
 【公表日】令和2年10月29日(2020.10.29)  
 【出願番号】特願2020-502118(P2020-502118)  
 【国際特許分類】

C 1 2 N 15/47(2006.01)

10

C 1 2 N 15/63(2006.01)

A 6 1 K 39/205(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 31/14(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 P 37/06(2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/47 Z N A

C 1 2 N 15/63 Z

20

A 6 1 K 39/205

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 31/14

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 37/06

【手続補正書】

【提出日】令和4年5月17日(2022.5.17)

【手続補正1】

30

【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】

全長リサウイルス糖タンパク質(G)、RNAポリメラーゼ(L)、マトリックスタンパク質(M)、核タンパク質(N)又はリンタンパク質(P)、その免疫原性誘導体若しくは免疫原性断片の1つ以上から選択される抗原を含むポリペプチドをコードする自己増幅RNA、及びRV39を含む脂質ナノ粒子送達系を含む組成物。

40

【請求項2】

前記自己増幅RNAがコドンを最適化されている、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記自己増幅RNAがコドン対最適化されている、請求項1に記載の組成物。

【請求項4】

前記自己増幅RNAが、配列番号2、配列番号4、配列番号6及び配列番号8からなる群より選択される核酸配列を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項5】

前記自己増幅RNAが、配列番号3、配列番号5、配列番号7及び配列番号9からなる群より選択されるアミノ酸配列をコードする、請求項1に記載の組成物。

50

## 【請求項 6】

RNAベースのワクチンを含む、請求項1に記載の組成物。

## 【請求項 7】

前記組成物が追加の抗原をコードする核酸配列をさらに含む、請求項1に記載の組成物。

## 【請求項 8】

前記組成物が、追加の抗原をコードする配列を含む核酸を含むさらなる組成物と組み合わせて対象に投与するために薬学的に許容されるものである、請求項1に記載の組成物。

## 【請求項 9】

1つ以上のアジュバントを含む、請求項1に記載の組成物。

## 【請求項 10】

それを必要とする対象においてリサウイルスによって引き起こされる疾患に対する免疫応答を誘導するための組成物であって、請求項1～9のいずれか1項に記載の組成物の免疫学的に有効な量を含む組成物。

10

## 【請求項 11】

前記対象がヒトである、請求項10に記載の組成物。

## 【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0316

【補正方法】変更

【補正の内容】

20

## 【0316】

他に説明されない限り、本明細書で使用されるすべての技術用語及び科学用語は、本開示が属する技術分野の当業者によって一般的に理解されるのと同じ意味を有する。単数形の実語「1つの(a)」、「1つの(an)」、及び「その(the)」には、文脈からそうでないことが明確に示されていない限り、複数の指示対象が含まれる。同様に、「又は(or)」という言葉は、文脈から明確に他に示されない限り、「及び」を含むことが意図される。「複数」という用語は、2つ以上を指す。さらに、物質の濃度又はレベルに関して与えられる数値限定、例えば、溶液成分濃度又はその比率、及び反応条件、例えば、温度、圧力及びサイクル時間は、近似値であることが意図される。本明細書で使用される「約」という用語は、量±10%を意味することが意図される。

30

本発明は、例えば以下の実施形態を包含する：

〔実施形態 1〕全長リサウイルス糖タンパク質(G)、RNAポリメラーゼ(L)、マトリックスタンパク質(M)、核タンパク質(N)又はリンタンパク質(P)、その免疫原性誘導体若しくは免疫原性断片の1つ以上から選択される抗原を含むポリペプチドをコードする、核酸ベースの構築物。

〔実施形態 2〕前記核酸が、前記抗原のコード領域を含むRNAである、実施形態1に記載の構築物。

〔実施形態 3〕リサウイルス糖タンパク質(G)配列を含む、実施形態1又は2に記載の構築物。

〔実施形態 4〕リサウイルス核タンパク質(N)配列を含む、実施形態1又は2に記載の構築物。

40

〔実施形態 5〕前記構築物が、

(a) 配列番号3、配列番号5、配列番号7及び配列番号9のアミノ酸配列を含むポリペプチドをコードする核酸配列；

(b) 配列番号2、配列番号4、配列番号6及び配列番号8のDNA配列を含む核酸配列；並びに(c) (a)又は(b)の変異体又は断片

からなる群より選択される核酸配列を含む、実施形態1～4のいずれかに記載の構築物。

〔実施形態 6〕前記構築物がコドン最適化されている、実施形態1～5のいずれかに記載の構築物。

〔実施形態 7〕前記構築物がコドン対最適化されている、実施形態1～5のいずれかに記

50

載の構築物。

[実施形態8] 実施形態1~7のいずれかに記載の構築物を含むベクター。

[実施形態9] 実施形態1~7のいずれかに記載の構築物を含む自己増幅RNA分子。

[実施形態10] 抗原をコードする自己増幅RNA分子であって、配列番号2、配列番号4、配列番号6及び配列番号8からなる群より選択される核酸配列を含む、自己増幅RNA分子。

[実施形態11] 実施形態9又は10に記載の自己増幅RNA分子をコードするDNA分子。

[実施形態12] 実施形態1~7のいずれかに記載の構築物、実施形態8に記載のベクター又は実施形態9若しくは10に記載の自己増幅RNA分子のうちの1つ以上の免疫学的に有効な量を含む組成物。

[実施形態13] RNAベースのワクチンを含む、実施形態12に記載の組成物。

[実施形態14] 自己増幅RNA分子を含む、実施形態13に記載の組成物。

[実施形態15] 脂質ベースの非ウイルス送達材料を含む、実施形態12~14のいずれかに記載の組成物。

[実施形態16] 前記脂質ベースの非ウイルス送達材料が脂質ナノ粒子送達系を含む、実施形態15に記載の組成物。

[実施形態17] 前記脂質ナノ粒子(LNP)送達系が、RV28、RV31、RV33、RV37、RV39、RV42、RV44、RV73、RV75、RV81、RV84、RV85、RV86、RV88、RV91、RV92、RV93、RV94、RV95、RV96、RV97、RV99、及びRV101からなる群より選択される、実施形態16に記載の組成物。

[実施形態18] 前記脂質ベースの非ウイルス送達材料が、脂質カチオン性マイクロエマルジョン送達系を含む、実施形態15に記載の組成物。

[実施形態19] 前記脂質カチオン性マイクロエマルジョン送達系がCNE56を含む、実施形態18に記載の組成物。

[実施形態20] 前記組成物が追加の抗原をコードする核酸配列をさらに含む、及び/又は前記組成物が追加の抗原をさらに含む、実施形態12~19のいずれかに記載の組成物。

[実施形態21] 前記組成物が、追加の抗原をコードする配列を含む核酸を含むさらなる組成物と組み合わせて対象に投与するために薬学的に許容されるものである、及び/又は前記組成物が、追加の抗原を含むさらなる組成物と組み合わせて対象に投与するために薬学的に許容されるものである、実施形態12~20のいずれかに記載の組成物。

[実施形態22] 1つ以上のアジュバントを含む、実施形態12~21のいずれかに記載の組成物。

[実施形態23] 1.5ug、1.0ug、500ng、250ng、125ng、75ng、50ng又は25ngなどの2ug以下の核酸ベースの構築物を含む、実施形態12~22のいずれかに記載の組成物。

[実施形態24] 抗原をコードする自己増幅RNA分子を含む組成物であって、該自己増幅RNA分子が、配列番号2、配列番号4、配列番号6及び配列番号8からなる群より選択される核酸配列を含み、かつ1.5ug、1.0ug、500ng、250ng、125ng、75ng、50ng又は25ngなどの2ug以下の核酸構築物を含む、組成物。

[実施形態25] それを必要とする対象においてリサウイルスによって引き起こされる疾患に対する免疫応答を誘導する方法であって、実施形態1~7のいずれかに記載の構築物、実施形態8に記載のベクター、実施形態9若しくは10に記載の自己増幅RNA分子、又は実施形態12~22のいずれかに記載の組成物のうちの1つ以上を含む組成物の免疫学的に有効な量を対象に投与することを含む方法。

[実施形態26] 前記対象がヒトである、実施形態25に記載の方法。

[実施形態27] 実施形態8に記載のベクター又は実施形態11に記載のDNAを転写して、前記抗原のコード領域を含むRNAを生成する工程を含む、RNAベースのワクチンを生成する方法。

[実施形態28] 前記転写がin vitroである、実施形態27に記載の方法。

[実施形態29] 前記転写がin vivoである、実施形態27に記載の方法。

10

20

30

40

50

〔実施形態30〕前記抗原のコード領域を含むRNAを送達系で製剤化する工程をさらに含む、実施形態27～29のいずれかに記載の方法。

〔実施形態31〕前記送達系が脂質ナノ粒子送達系を含む、実施形態30に記載の方法。

〔実施形態32〕前記送達系が、カチオン性ナノエマルジョン送達系を含む、実施形態30に記載の方法。

〔実施形態33〕前記抗原のコード領域を含むRNAと、アジュバントを含む追加の組成物とを合わせる工程をさらに含む、実施形態27～32のいずれかに記載の方法。

〔実施形態34〕対象におけるリサウイルス疾患に対する免疫応答を誘導するための、実施形態1～7のいずれかに記載の構築物、実施形態8に記載のベクター、実施形態9若しくは10に記載の自己増幅RNA分子、又は実施形態12～14のいずれかに記載の組成物の使用。

10

〔実施形態35〕対象におけるリサウイルス疾患に対する免疫応答を誘導するための医薬の製造における、実施形態1～7のいずれかに記載の構築物、実施形態8に記載のベクター、実施形態9若しくは10に記載の自己増幅RNA分子、又は実施形態12～14のいずれかに記載の組成物の使用。

〔実施形態36〕本明細書に実質的に記載される組成物、構築物、ベクター、DNA分子、自己増幅RNA分子、方法、プロセス又は使用。

20

30

40

50