【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6年7月25日(2024.7.25)

【公開番号】特開2024-95717(P2024-95717A)
【公開日】令和6年7月10日(2024.7.10)
【年通号数】公開公報(特許)2024-128
【出願番号】特願2024-56219(P2024-56219)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ 15/864(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/113(2010.01)
Ｃ１２Ｎ 5/10(2006.01)
Ａ６１Ｋ 35/76(2015.01)
Ａ６１Ｐ 25/00(2006.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ 15/8641００Ｚ
Ｃ１２Ｎ 15/113 ＺＺＮＡ
Ｃ１２Ｎ 5/10
Ａ６１Ｋ 35/76
Ａ６１Ｐ 25/00

【手続補正書】
【提出日】令和6年7月10日(2024.7.10)
【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】
ＳＯＤ１遺伝子発現を阻害または抑制するｓｉＲＮＡ二重鎖のセンス鎖配列およびアンチセンス鎖配列を含む調節性ポリヌクレオチドであって、
前記センス鎖配列は、配列番号２２～２４および２６～４６のいずれか１つのヌクレオチド配列のうちの少なくとも１９連続ヌクレオチドを含み、および
前記アンチセンス鎖配列は、配列番号５～６および８～２１のいずれか１つのヌクレオチド配列のうちの少なくとも１９連続ヌクレオチドを含み、
前記センス鎖配列および前記アンチセンス鎖配列は、少なくとも１８ヌクレオチド長の相補性の領域を共有する、調節性ポリヌクレオチド。
【請求項２】
（ｉ）前記センス鎖配列は、配列番号２２～２４および２６～４６のいずれか１つのヌクレオチド配列のうちの少なくとも２０連続ヌクレオチドを含み、かつ
前記アンチセンス鎖配列は、配列番号５～６および８～２１のいずれか１つのヌクレオチド配列のうちの少なくとも２０連続ヌクレオチドを含む；または
（ｉｉ）前記センス鎖配列は、配列番号２２～２４および２６～４６のいずれか１つのヌクレオチド配列を含み、かつ
前記アンチセンス鎖配列は、配列番号５～６および８～２１のいずれか１つのヌクレオチド配列を含む
請求項１に記載の調節性ポリヌクレオチド。
【請求項３】
前記センス鎖配列および前記アンチセンス鎖配列は、独立して２１ヌクレオチド長であ

る、請求項１または２に記載の調節性ポリヌクレオチド。
【請求項４】
前記センス鎖配列および前記アンチセンス鎖配列は、少なくとも２ヌクレオチドの３’オーバハングを含む、請求項１～３のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチド。
【請求項５】
（ａ）５’フランキング領域；
（ｂ）ループ領域；および／または
（ｃ）３’フランキング領域、をさらに含む、
請求項１～４のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチド。
【請求項６】
（ｉ）前記５’フランキング領域をコードするヌクレオチド配列は、配列番号４７～４９のいずれか１つのヌクレオチド配列を含み；
（ｉｉ）前記ループ領域をコードするヌクレオチド配列は、配列番号５０～５３のいずれか１つのヌクレオチド配列を含み；かつ
（ｉｉｉ）前記３’フランキング領域をコードするヌクレオチド配列は、配列番号５４～５８のいずれか１つのヌクレオチド配列を含む、
請求項５に記載の調節性ポリヌクレオチド。
【請求項７】
前記調節性ポリヌクレオチドをコードするヌクレオチド配列は、配列番号５９～６１および６３～７９のいずれか１つのヌクレオチド配列を含む、
請求項１～６のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチド。
【請求項８】
ＳＯＤ１遺伝子発現を阻害または抑制する調節性ポリヌクレオチドであって、
配列番号５９～６１および６３～７９のいずれか１つのヌクレオチド配列によりコードされるヌクレオチド配列を含む、調節性ポリヌクレオチド。
【請求項９】
前記調節性ポリヌクレオチドが、ｐｒｉ－ｍｉｃｒｏＲＮＡである、請求項１～８のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチド。
【請求項１０】
２つの末端逆位配列（ＩＴＲ）の間に配置された核酸配列を含むアデノ随伴ウイルス（ＡＡＶ）ウイルスゲノムであって、
前記核酸配列が、請求項１～９のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチドをコードする、ＡＡＶウイルスゲノム。
【請求項１１】
（ｉ）プロモータ；
（ｉｉ）エンハンサー；
（ｉｉｉ）イントロン；
（ｉｖ）フィラー配列；および／または
（ｖ）ポリＡシグナル配列
をさらに含む、請求項１０に記載のＡＡＶウイルスゲノム。
【請求項１２】
前記プロモータが、Ｈ１プロモータ、ＣＭＶプロモータ、またはＣＢＡプロモータを含む、請求項１１に記載のＡＡＶウイルスゲノム。
【請求項１３】
配列番号１２２～１２７および１２９～１４６のいずれか１つのヌクレオチド配列、またはその配列に少なくとも９０％もしくは少なくとも９５％同一のヌクレオチド配列を含む、請求項１０～１２のいずれか一項に記載のＡＡＶウイルスゲノム。
【請求項１４】
請求項１０～１３のいずれか一項に記載のＡＡＶウイルスゲノムと、ＡＡＶカプシドタンパク質とを含む、アデノ随伴ウイルス（ＡＡＶ）。

【請求項１５】
前記ＡＡＶカプシドタンパク質が、ＡＡＶ９カプシドタンパク質またはそのバリアント、ＡＡＶ５カプシドタンパク質またはそのバリアント、または、ＡＡＶｒｈ１０カプシドタンパク質またはそのバリアントである、請求項１４に記載のＡＡＶ。
【請求項１６】
請求項１４もしくは１５に記載のＡＡＶまたは請求項１～９のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチドと、薬学的に許容可能な賦形剤とを含む、医薬組成物。
【請求項１７】
筋萎縮性側索硬化症（ＡＬＳ）の治療用医薬の製造における、請求項１～９のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチドを含む組成物、請求項１４もしくは１５に記載のＡＡＶ、または請求項１６に記載の医薬組成物の使用。
【請求項１８】
ＡＬＳの治療に使用するための、請求項１～９のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチドまたは請求項１４もしくは１５に記載のＡＡＶを含む組成物、あるいは請求項１６に記載の医薬組成物。
【請求項１９】
細胞におけるＳＯＤ１遺伝子の発現を阻害するための医薬の製造における、請求項１～９のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチドを含む組成物、請求項１４もしくは１５に記載のＡＡＶ、または請求項１６に記載の医薬組成物の使用。
【請求項２０】
細胞におけるＳＯＤ１発現の阻害に使用するための、請求項１～９のいずれか一項に記載の調節性ポリヌクレオチドまたは請求項１４もしくは１５に記載のＡＡＶを含む組成物、あるいは請求項１６に記載の医薬組成物。
【請求項２１】
前記細胞が、
（ｉ）哺乳類細胞；
（ｉｉ）ＣＮＳ細胞；
（ｉｉｉ）ニューロン；
（ｉｖ）運動ニューロンまたは中型有棘ニューロン；
（ｖ）アストロサイト；および／または
（ｖｉ）対象におけるもの、
である、請求項２０に記載の使用のための組成物。
【請求項２２】
前記対象が、ＡＬＳを有している、請求項２１に記載の使用のための組成物。
【請求項２３】
前記ＡＬＳが、孤発性ＡＬＳまたは家族性ＡＬＳである、請求項１８または２２に記載の使用のための組成物。
【請求項２４】
（ｉ）ＳＯＤ１の発現が２０％～１００％、または５０％～９５％阻害または抑制される；および／または
（ｉｉ）ＳＯＤ１遺伝子が少なくとも１つの突然変異を含む、あるいはＳＯＤ１遺伝子が突然変異を含まない、請求項２０～２３のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項２５】
静脈内投与のために製剤化されている、請求項１８および２０～２４のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項２６】
アデノ随伴ウイルス（ＡＡＶ）の製造方法であって、
請求項１０～１３のいずれか一項に記載のＡＡＶウイルスゲノムを含むポリヌクレオチド、ＡＡＶｒｅｐ遺伝子をコードする少なくとも１つのポリヌクレオチド、およびＡＡＶｃａｐ遺伝子をコードする少なくとも１つのポリヌクレオチドで、細胞をトランスフェク

トする工程；および
前記細胞から前記ＡＡＶを回収する工程
を含む方法。
【請求項２７】
前記細胞が、昆虫細胞、哺乳類細胞、または細菌細胞を含む、請求項２６に記載の方法。