

【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3月19日(2024.3.19)

【国際公開番号】WO2021/183564

【公表番号】特表2023-519173(P2023-519173A)

【公表日】令和5年5月10日(2023.5.10)

【年通号数】公開公報(特許)2023-085

【出願番号】特願2022-554368(P2022-554368)

【国際特許分類】

C 12N 15/48(2006.01)

C 12N 15/31(2006.01)

C 12N 15/30(2006.01)

C 12N 15/12(2006.01)

C 12N 15/11(2006.01)

A 61K 48/00(2006.01)

A 61K 39/12(2006.01)

A 61K 39/00(2006.01)

A 61K 39/145(2006.01)

A 61K 47/20(2006.01)

A 61P 35/00(2006.01)

A 61P 43/00(2006.01)

A 61P 31/12(2006.01)

A 61P 31/16(2006.01)

A 61P 37/04(2006.01)

A 61K 39/395(2006.01)

10

20

30

40

【F I】

C 12N 15/48 Z N A

C 12N 15/31

C 12N 15/30

C 12N 15/12

C 12N 15/11 Z

A 61K 48/00

A 61K 39/12

A 61K 39/00 H

A 61K 39/00 G

A 61K 39/145

A 61K 47/20

A 61P 35/00

A 61P 43/00 1 2 1

A 61P 31/12

A 61P 31/16

A 61P 37/04

A 61K 39/395 D

A 61K 39/395 N

40

【手続補正書】

【提出日】令和6年3月8日(2024.3.8)

【手続補正1】

【補正対象書類名】特許請求の範囲

50

【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】

核酸分子であって、

(i) 1つ以上のウイルス複製タンパク質をコードする第1のポリヌクレオチドを含み、前記第1のポリヌクレオチドが、前記1つ以上のウイルス複製タンパク質をコードする野生型ポリヌクレオチドと比較してコドン最適化され、さらに、前記核酸分子が、

(ii) 第1の抗原タンパク質またはそのフラグメントをコードする第1の導入遺伝子を含む第2のポリヌクレオチド 10

を含む、前記核酸分子。

【請求項2】

請求項1に記載の核酸分子であって：

(a) 前記1つ以上のウイルス複製タンパク質が、アルファウイルスタンパク質である；または

(b) 前記第1のポリヌクレオチドが、アルファウイルス_nS_P1タンパク質、アルファウイルス_nS_P2タンパク質、アルファウイルス_nS_P3タンパク質、及びアルファウイルス_nS_P4タンパク質を含むポリタンパク質をコードする；または

(c) 前記第1のポリヌクレオチドが、アルファウイルス_nS_P1タンパク質、アルファウイルス_nS_P2タンパク質、アルファウイルス_nS_P3タンパク質、及びアルファウイルス_nS_P4タンパク質を含むポリタンパク質をコードし、前記アルファウイルスタンパク質が、ベネズエラウマ脳炎ウイルス(VEEV)である、 20

核酸分子。

【請求項3】

前記第1のポリヌクレオチドが、配列番号72の配列と、少なくとも80%の同一性を有する配列を含む、請求項1または2に記載の核酸分子。

【請求項4】

請求項1～3のいずれか1項に記載の核酸分子であって：

(a) 核酸分子が、さらに、5'非翻訳領域(UTR)を含む；または

(b) 核酸分子が、さらにアルファウイルス5'UTRを含む；または

(c) 核酸分子が、さらにベネズエラウマ脳炎ウイルス(VEEV)5'UTR配列を含むアルファウイルス5'UTRを含む；または

(d) 核酸分子が、さらに配列番号73、配列番号74、または配列番号75の配列を含む5'UTRを含む；または

(e) 核酸分子が、さらに3'UTRを含む；または

(f) 核酸分子が、さらにアルファウイルス3'UTRを含む；または

(g) 核酸分子が、さらにベネズエラウマ脳炎ウイルス(VEEV)3'UTR配列を含むアルファウイルス3'UTRを含む；または

(h) 核酸分子が、さらにポリA配列を含む3'UTRを含む；または

(i) 核酸分子が、さらに配列番号76の配列を含む3'UTRを含む；または

(j) 上記(a)～(i)のいずれかの組み合わせを含む、
核酸分子。

【請求項5】

請求項1～4のいずれか1項に記載の核酸分子であって、

(a) 前記抗原タンパク質が、ウイルスタンパク質、細菌タンパク質、真菌タンパク質、原生動物タンパク質、寄生生物タンパク質、または腫瘍タンパク質である；または

(b) 前記ウイルスタンパク質が、オルソミクソウイルスタンパク質、パラミクソウイルスタンパク質、ピコルナウイルスタンパク質、フラビウイルスタンパク質、フィロウイルスタンパク質、ラブドウイルスタンパク質、トガウイルスタンパク質、アルテリウイルス

40

50

タンパク質、ブニヤウイルスタンパク質、アレナウイルスタンパク質、レオウイルスタンパク質、ボルナウイルスタンパク質、レトロウイルスタンパク質、アデノウイルスタンパク質、ヘルペスウイルスタンパク質、ポリオーマウイルスタンパク質、パピローマウイルスタンパク質、ポックスウイルスタンパク質、またはヘパドナウイルスタンパク質である；または

(c) 前記抗原タンパク質が、インフルエンザウイルスタンパク質、呼吸器合胞体ウイルス (RSV) タンパク質、ヒト免疫不全ウイルス (HIV) タンパク質、C型肝炎ウイルス (HCV) タンパク質、サイトメガロウイルス (CMV) タンパク質、ラッサ熱ウイルス (LHFV) タンパク質、エボラウイルス (EBOV) タンパク質、Mycobacterium タンパク質、Bacillus タンパク質、Yersinia タンパク質、Streptococcus タンパク質、Pseudomonas タンパク質、Shigella タンパク質、Campylobacter タンパク質、Salmonella タンパク質、Plasmodium タンパク質、またはトキソプラズマタンパク質である；または

(d) 前記腫瘍タンパク質が、腎臓がん、腎がん、膀胱がん、前立腺がん、子宮がん、乳がん、子宮頸がん、卵巣がん、肺がん、肝臓がん、胃がん、結腸がん、直腸がん、口腔がん、咽頭がん、脾臓がん、甲状腺がん、黒色腫、皮膚がん、頭頸部がん、脳がん、造血器がん、白血病、リンパ腫、骨がん、または肉腫タンパク質である。

核酸分子。

【請求項 6】

前記第2のポリヌクレオチドが、少なくとも2つの導入遺伝子を含む、請求項1～5のいずれか1項に記載の核酸分子。

【請求項 7】

請求項6に記載の核酸分子であって、

(a) 第2の導入遺伝子が、第2の抗原タンパク質もしくはそのフラグメント、または免疫調節タンパク質、またはレポータータンパク質をコードする；または

(b) 第2の導入遺伝子が、サイトカイン、ケモカイン、またはインターロイキンから選択される免疫調節タンパク質をコードする；または

(c) 第1及び第2の導入遺伝子が、ウイルスタンパク質、細菌タンパク質、真菌タンパク質、原生動物タンパク質、寄生生物タンパク質、腫瘍タンパク質、免疫調節タンパク質、またはそれらの任意の組み合わせをコードする；または

(d) 第2のポリヌクレオチドが、さらに、導入遺伝子間に位置する、2Aペプチドをコードする配列、内部リボソーム侵入部位 (IRES)、サブゲノムプロモーターまたはそれらの組み合わせを含む；または

(e) 少なくとも2つの導入遺伝子が、別々のサブゲノムRNAから発現される、

(f) 上記(a)～(e)のいずれかの組み合わせを含む、
核酸分子。

【請求項 8】

請求項1～7のいずれか1項に記載の核酸分子であって、

(a) 前記第1のポリヌクレオチドが、前記第2のポリヌクレオチドの5'に位置する；または

(b) 核酸分子が、さらに前記第1のポリヌクレオチド及び前記第2のポリヌクレオチド間に位置する遺伝子間領域を含む；または

(c) 核酸分子が、さらに前記第1のポリヌクレオチド及び前記第2のポリヌクレオチド間に位置する遺伝子間領域を含み、前記遺伝子間領域が、配列番号77の配列と少なくとも85%の同一性を有する配列を含む；または

(d) 上記(a)～(c)のいずれかの組み合わせを含む、
核酸分子。

【請求項 9】

前記核酸分子が、

10

20

30

40

50

- (a) D N A 分子；または
- (b) D N A 分子、ここで、D N A 分子が、さらにT 7 プロモーター、T 3 プロモーター、またはS P 6 プロモーターを含み、任意に、プロモーターが、5' U T R の5' に位置する；または
- (c) T がU で置換されているR N A 分子；または
- (d) T がU で置換されているR N A 分子、ここで、R N A 分子が、自己複製R N A 分子である；または
- (e) 5' キャップを含むR N A 分子；または
- (f) C a p 1 構造、C a p 1 (^{m 6}A) 構造、C a p 2 構造、またはC a p 0 構造有する5' キャップを含むR N A 分子；または
- (g) 上記 (c) ~ (f) のいずれかの組み合わせ、
である、請求項1～8のいずれか1項に記載の核酸分子。

10

【請求項10】

請求項1～9のいずれか1項に記載の核酸分子であって、

- (a) T がU で置換されている、配列番号7 2、配列番号7 3、配列番号7 6、及び配列番号7 7 の配列；または

- (b) 配列番号7 8 の配列、

を含む、前記核酸分子。

【請求項11】

請求項1～10のいずれか1項に記載の核酸分子及び脂質を含み、脂質が、イオン化可能なカチオン性脂質を含む、組成物。 20

【請求項12】

前記イオン化可能なカチオン性脂質が、

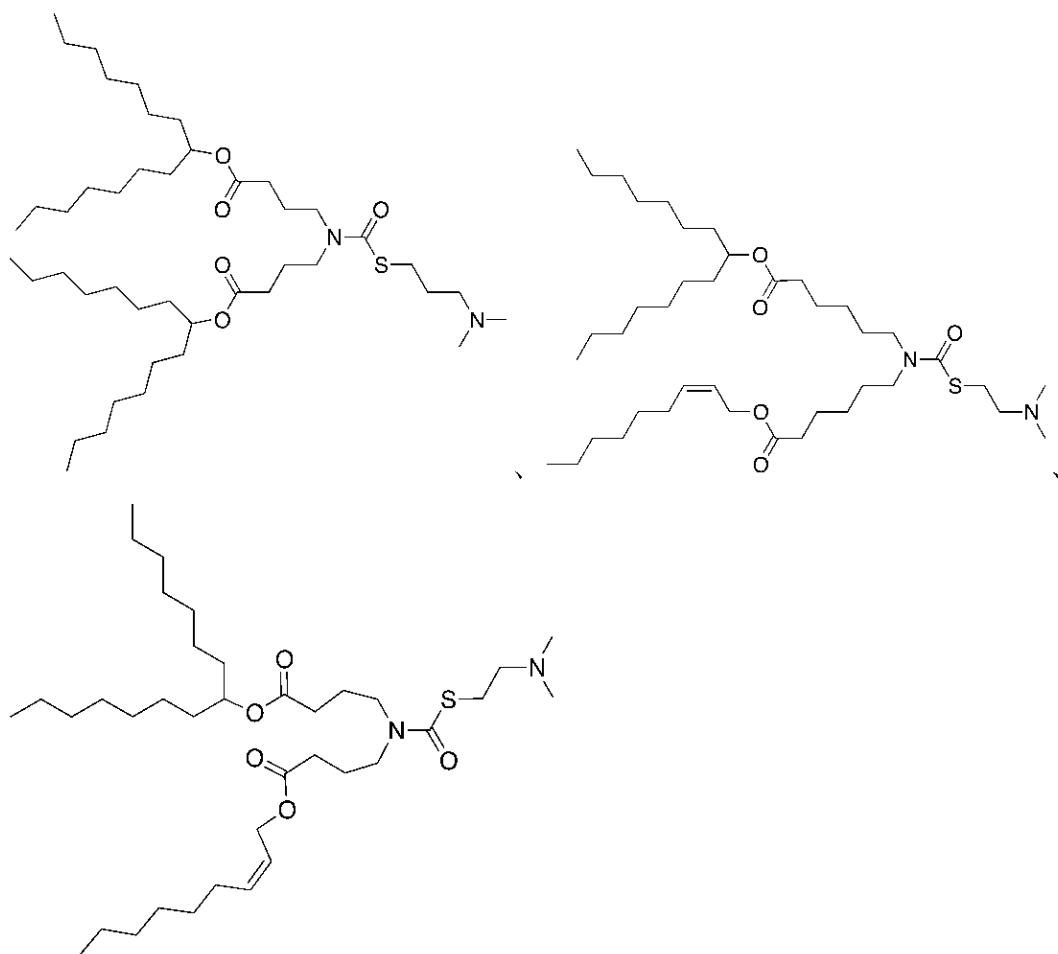
20

30

40

50

【化 1】



またはその薬学的に許容される塩
の構造を有する、請求項1_1に記載の組成物。

30

【請求項 1_3】

請求項1 ~ 1_0のいずれか1項に記載の核酸分子及び脂質製剤を含み、脂質製剤が、イ
オン化可能なカチオン性脂質を含む、医薬組成物。

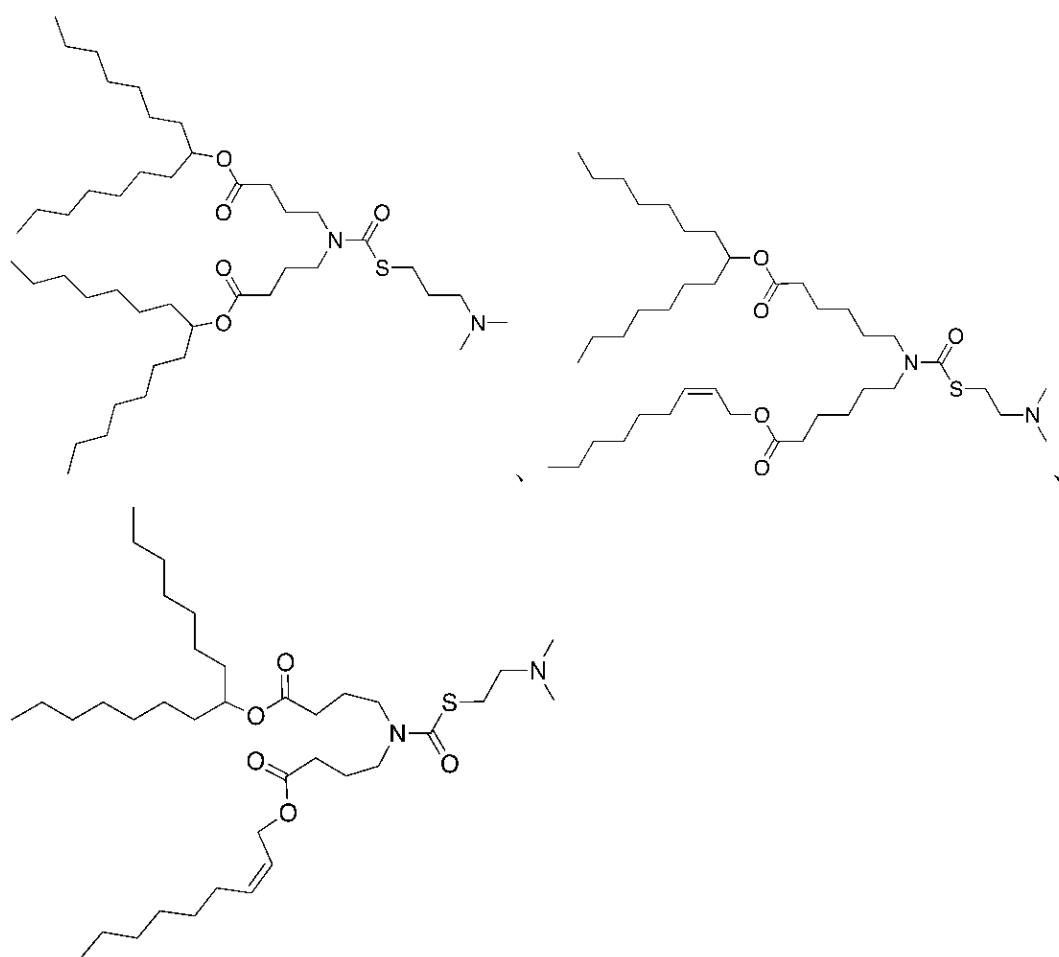
【請求項 1_4】

前記イオン化可能なカチオン性脂質が、

40

50

【化 2】



またはその薬学的に許容される塩の構造を有する、請求項1_3に記載の医薬組成物。

【請求項 1_5】

対象において免疫応答を誘導する方法に使用するための、請求項1 ~ 10のいずれか1
項に記載の核酸分子、請求項1_1または1_2に記載の組成物、または請求項1_3または1_4の記載の医薬組成物であって、前記方法が、有効量の前記核酸分子、前記組成物、または前記医薬組成物を前記対象に投与することを含み、任意に、投与が筋肉内投与である、前記方法。

30

40

50