

【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】

10

C 1 2 N 15/48(2006.01)

C 1 2 N 15/31(2006.01)

C 1 2 N 15/30(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/11(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 39/12(2006.01)

A 6 1 K 39/00(2006.01)

A 6 1 K 39/145(2006.01)

A 6 1 K 47/20(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 P 31/12(2006.01)

A 6 1 P 31/16(2006.01)

A 6 1 P 37/04(2006.01)

A 6 1 K 39/395(2006.01)

20

【F I】

C 1 2 N 15/48 Z N A

C 1 2 N 15/31

C 1 2 N 15/30

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/11 Z

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 39/12

A 6 1 K 39/00 H

A 6 1 K 39/00 G

A 6 1 K 39/145

A 6 1 K 47/20

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 43/00 1 2 1

A 6 1 P 31/12

A 6 1 P 31/16

A 6 1 P 37/04

A 6 1 K 39/395 D

A 6 1 K 39/395 N

30

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、

(i i) 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を含む、前記核酸分子。

10

【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 n s P 1 タンパク質、アルファウイルス n s P 2 タンパク質、アルファウイルス n s P 3 タンパク質、及びアルファウイルス n s P 4 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 n s P 1 タンパク質、アルファウイルス n s P 2 タンパク質、アルファウイルス n s P 3 タンパク質、及びアルファウイルス n s P 4 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 (V E E V) 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 7 2 の配列と、少なくとも 8 0 % 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 (U T R) を含む；または

(b) 核酸分子が、さらにアルファウイルス 5' U T R 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 (V E E V) 5' U T R 配列を含むアルファウイルス 5' U T R を含む；または

(d) 核酸分子が、さらに配列番号 7 3、配列番号 7 4、または配列番号 7 5 の配列を含む 5' U T R を含む；または

(e) 核酸分子が、さらに 3' U T R を含む；または

(f) 核酸分子が、さらにアルファウイルス 3' U T R 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 (V E E V) 3' U T R 配列を含むアルファウイルス 3' U T R を含む；または

(h) 核酸分子が、さらにポリ A 配列を含む 3' U T R を含む；または

(i) 核酸分子が、さらに配列番号 7 6 の配列を含む 3' U T R 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。

30

40

【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、オルソミクスウイルスタンパク質、パラミクス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

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(LFV)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

10

(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、膵臓がん、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】

20

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

30

(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

40

(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、

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 (^m6 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 1 0】

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 1 1】

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 1 2】

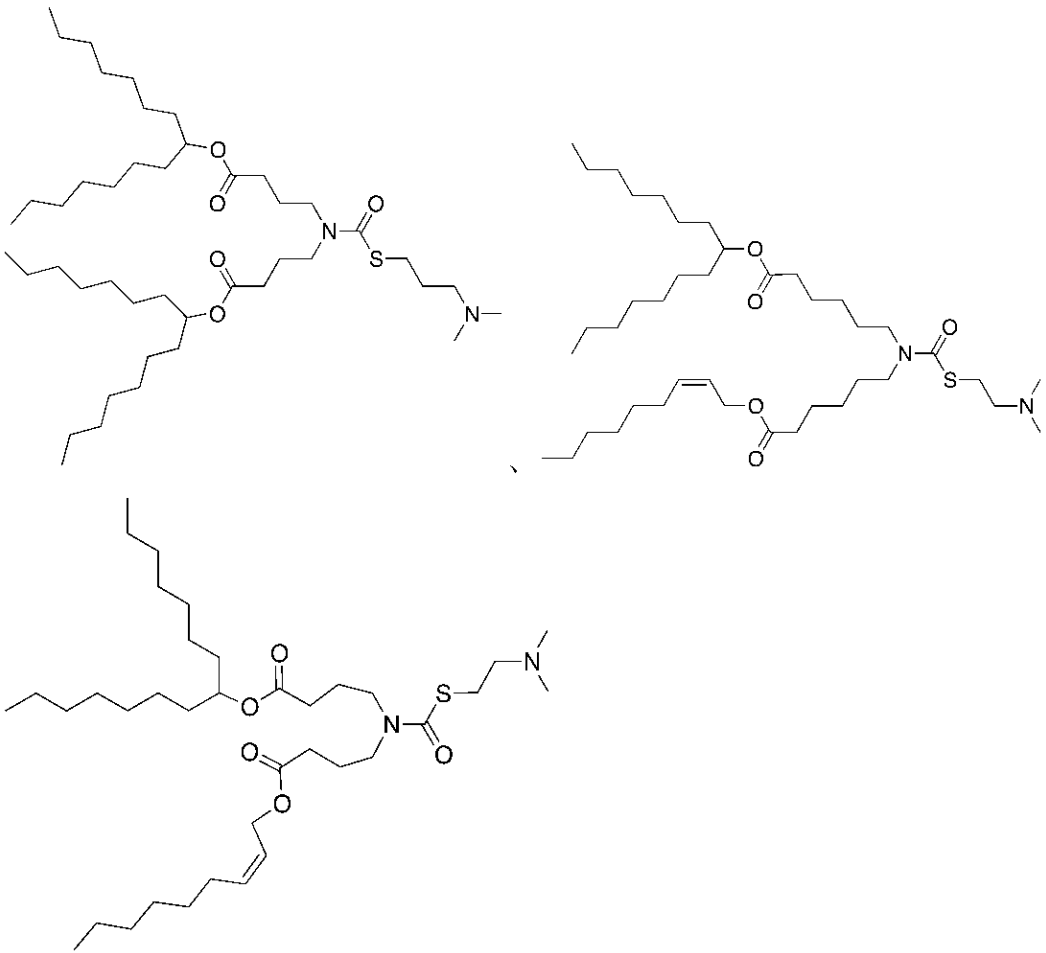
前記イオン化可能なカチオン性脂質が、

30

40

50

【化 1】



10

20

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。

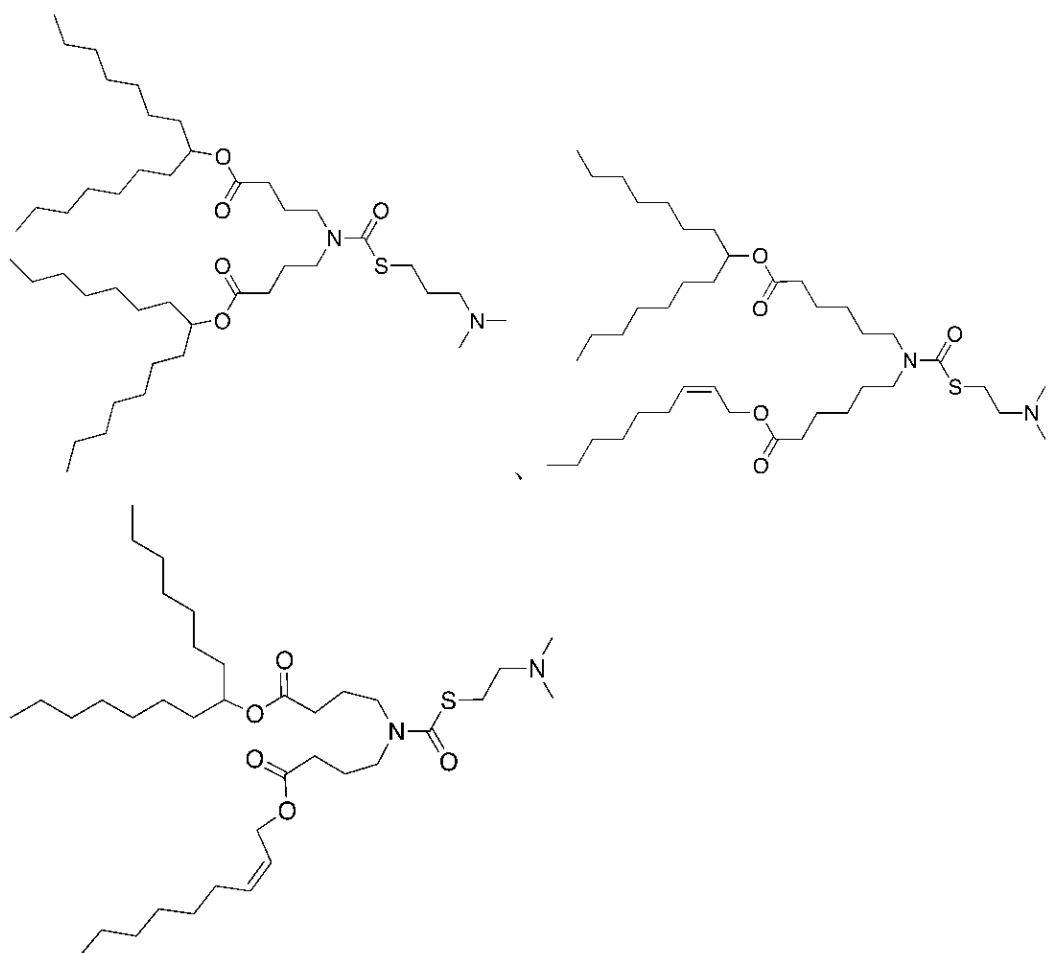
【請求項 1.4】

前記イオン化可能なカチオン性脂質が、

40

50

【化 2】



10

20

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。

30

【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 ~ 1 0 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。

40

50