

【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3部門第2区分

【発行日】平成29年10月12日(2017.10.12)

【公表番号】特表2016-537341(P2016-537341A)

【公表日】平成28年12月1日(2016.12.1)

【年通号数】公開・登録公報2016-066

【出願番号】特願2016-528904(P2016-528904)

【国際特許分類】

A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
A 6 1 K	35/761	(2015.01)
A 6 1 K	35/76	(2015.01)
C 1 2 N	15/09	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	45/00	
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	31/7088	
A 6 1 K	35/761	
A 6 1 K	35/76	
C 1 2 N	15/00	Z N A A

【手続補正書】

【提出日】平成29年9月4日(2017.9.4)

【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】

対象の中型有棘ニューロン(MSN)において、PDE10a、DARP P - 32、DRD1および/またはDRD2のレベルを対照と比較して少なくとも30%増加させるための組成物であって、ハンチントン病に関連する遺伝子の遺伝子抑制因子を含む、組成物。

【請求項2】

前記PDE10a、DARP P - 32、DRD1および/またはDRD2のレベルを、前記対照と比較して、少なくとも40%、もしくは少なくとも50%、またはそれ超増加させることを特徴とする、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記遺伝子抑制因子が、ハンチントン病に関連する遺伝子操作されたDNA結合ドメインを含む、請求項1または2に記載の組成物。

【請求項4】

前記遺伝子抑制因子が、ハンチントン病に関連する遺伝子操作されたDNA結合ドメインを含む、請求項1または2に記載の組成物。

【請求項5】

前記遺伝子抑制因子が、遺伝子操作されたDNA結合ドメインを含む、請求項1～4のいずれかに記載の組成物。

【請求項 6】

前記DNA結合ドメインが、遺伝子操作されたジンクフィンガータンパク質、CRISPR/Cas系またはTALエフェクタードメインを含む、請求項5に記載の組成物。

【請求項 7】

前記DNA結合ドメインが、機能的ドメインに融合されている、請求項5または6に記載の組成物。

【請求項 8】

前記機能的ドメインが、転写抑制ドメインまたはヌクレアーゼである、請求項7に記載の組成物。

【請求項 9】

対象の中枢神経系(CNS)に投与されることを特徴とする、請求項1~8のいずれかに記載の組成物。

【請求項 10】

線条体に投与されることを特徴とする、請求項9に記載の組成物。

【請求項 11】

ウイルスベクターまたは非ウイルスベクターを用いて投与されることを特徴とする、請求項1~10のいずれかに記載の組成物。

【請求項 12】

前記非ウイルスベクターがアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターである、請求項11に記載の組成物。

【請求項 13】

ハンチントン病を治療するための、請求項1~12のいずれかに記載の組成物であって、中型有棘ニューロン(MSN)においてPDE10a、DARPP-32、DRD1および/またはDRD2のレベルを増加させることを特徴とする、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】0254

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0254】

理解の明確さを目的として、例示説明および実施例を用いてある程度詳細に開示を提供してきたが、当業者には、本開示の趣旨または範囲から逸脱することなく、種々の変更および修正が実施され得ることは明白であろう。したがって、前述の説明および実施例は、限定的であると解釈されるべきではない。

例えば、本発明は以下の項目を提供する。

(項目1)

対象の中型有棘ニューロン(MSN)において、PDE10a、DARPP-32、DRD1および/またはDRD2のレベルを対照と比較して少なくとも30%増加させる方法であって、該方法は、ハンチントン病に関連する遺伝子の遺伝子抑制因子を該対象に投与する工程を含む、方法。

(項目2)

前記PDE10a、DARPP-32、DRD1および/またはDRD2のレベルが、前記対照と比較して、少なくとも40%、もしくは少なくとも50%、またはそれ超増加する、項目1に記載の方法。

(項目3)

前記遺伝子抑制因子が、ハンチントンタンパク質をコードする核酸(例えば、遺伝的DNAまたはmRNA)を阻害する、小分子、核酸またはタンパク質である、項目1または2に記載の方法。

(項目4)

前記遺伝子抑制因子が、ハンチントンパク質をコードする核酸に特異的に結合する、項目1～3のいずれかに記載の方法。

(項目5)

前記遺伝子抑制因子が、遺伝子操作されたDNA結合ドメインを含む、項目1～4のいずれかに記載の方法。

(項目6)

前記DNA結合ドメインが、遺伝子操作されたジンクフィンガータンパク質、C R I S P R / C a s 系またはT A L エフェクタードメインを含む、項目5に記載の方法。

(項目7)

前記DNA結合ドメインが、機能的ドメインに融合されている、項目5または6に記載の方法。

(項目8)

前記機能的ドメインが、転写抑制ドメインまたはヌクレアーゼである、項目7に記載の方法。

(項目9)

前記遺伝子抑制因子が、対象の中枢神経系(CNS)に投与される、項目1～8のいずれかに記載の方法。

(項目10)

前記遺伝子抑制因子が線条体に投与される、項目9に記載の方法。

(項目11)

前記遺伝子抑制因子が、ウイルスベクターまたは非ウイルスベクターを用いて投与される、項目1～10のいずれかに記載の方法。

(項目12)

前記非ウイルスベクターがアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターである、項目11に記載の方法。

(項目13)

対象においてハンチントン病を治療する方法であって、該方法は、項目1～12のいずれかに記載の方法に従って、中型有棘ニューロン(MSN)においてP D E 1 0 a、D A R P P - 3 2、D R D 1 および/またはD R D 2のレベルを増加させることを含む、方法。

。