

【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】平成 20 年 1 月 10 日 (2008.1.10)

【公表番号】特表 2007-512027 (P2007-512027A)

【公表日】平成 19 年 5 月 17 日 (2007.5.17)

【年通号数】公開・登録公報 2007-018

【出願番号】特願 2006-541617 (P2006-541617)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

A 0 1 K 67/027 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A A

A 0 1 K 67/027

C 1 2 N 5/00 B

【手続補正書】

【提出日】平成 19 年 11 月 14 日 (2007.11.14)

【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】

i R N A 分子をコードする D N A 構築物を細胞のゲノムの所定の位置に挿入する工程を含む、トランスジェニック細胞を産生するための方法。

【請求項 2】

i R N A 分子をコードする D N A 構築物を細胞のゲノムの所定の位置に挿入する工程を含み、該挿入が該細胞の正常な遺伝子発現を破壊しない、トランスジェニック細胞を産生するための方法。

【請求項 3】

(i) 標的 m R N A に対して相補的な少なくとも 1 つの i R N A 配列を同定する工程 ;
 (i i) 細胞中の標的内因性遺伝子配列を同定する工程 ;
 (i i i) i R N A 配列をコードする D N A 構築物及び該内因性標的配列に対して相同な標的配列を製造する工程 ;
 (i v) 該 D N A 構築物を該細胞に導入する工程 ; 及び
 (v) 該 i R N A 分子が発現され、それによって該標的 m R N A の発現を調節する条件下で、該細胞を増殖させる工程
 を含む、標的 m R N A の発現を調節するための方法。

【請求項 4】

前記挿入が標的遺伝子のエキソン内へのものである、請求項 3 に記載の方法。

【請求項 5】

前記挿入が標的遺伝子のイントロン内へのものである、請求項 3 に記載の方法。

【請求項 6】

前記挿入が前記標的遺伝子の機能を破壊しない、請求項 3 に記載の方法。

【請求項 7】

前記 D N A 構築物が、該標的遺伝子と前記 D N A 構築物との間の相同的組換えを可能にするために、標的遺伝子に対して相同な配列を含有する、請求項 3 に記載の方法。

【請求項 8】

前記 DNA 構築物が合成イントロン内に含有される、請求項 3 に記載の方法。

【請求項 9】

前記合成イントロンが機能性イントロンである、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 10】

前記合成イントロンが内因性イントロン内に挿入される、請求項 9 に記載の方法。

【請求項 11】

前記合成イントロンが内因性エクソン内に挿入される、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 12】

前記細胞がヒト細胞である、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 13】

前記細胞が非ヒト哺乳動物細胞である、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 14】

前記 DNA 構築物が、Drosophila 基質である RNA 分子をコードする、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 15】

iRNA 分子が siRNA 分子である、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 16】

前記 DNA が相同的組換えを介して前記遺伝子内に挿入される、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 17】

請求項 1 又は 2 に従って産生されるトランスジェニック細胞。

【請求項 18】

請求項 17 に記載の細胞を含むトランスジェニック動物。

【請求項 19】

第 1 の標的 mRNA に対して相補的な第 1 のヌクレオチド配列と、第 2 の標的 mRNA に対して相補的な第 2 のヌクレオチド配列と

を含み、該第 1 及び第 2 のヌクレオチド配列が実質的に共にハイブリダイズして二本鎖 iRNA 分子を形成する、二本鎖 iRNA 分子。

【請求項 20】

前記第 1 及び第 2 の標的 mRNA が同じである、請求項 19 に記載の iRNA 分子。

【請求項 21】

前記第 1 及び第 2 の標的 mRNA が異なる、請求項 19 に記載の iRNA 分子。

【請求項 22】

前記第 1 及び第 2 のヌクレオチド配列が反復性である、請求項 19 に記載の iRNA 分子。

【請求項 23】

前記第 1 及び第 2 のヌクレオチド配列を分離する第 3 のヌクレオチド配列をさらに含む、請求項 19 に記載の iRNA 分子。

【請求項 24】

前記第 1 及び第 2 のヌクレオチド配列が 19 ~ 32 ヌクレオチド長である、請求項 19 に記載の iRNA 分子。

【請求項 25】

前記第 3 のヌクレオチド配列が 4 ~ 10 ヌクレオチド長である、請求項 23 に記載の iRNA 分子。

【請求項 26】

第 1 の標的 mRNA に対して相補的な第 1 のヌクレオチド配列と、第 2 の標的 mRNA に対して相補的な第 2 のヌクレオチドと

を含み、該第 1 及び第 2 のヌクレオチド配列が実質的に共にハイブリダイズして二本鎖 iRNA 分子を形成する、二本鎖 iRNA 分子をコードする DNA 構築物。

【請求項 27】

(i) 標的 mRNA に対して相補的な少なくとも 1 つのヌクレオチド配列を同定する工程；

(ii) 該相補的な配列を分析して、共にハイブリダイズ可能な配列の一部を同定する工程；

(iii) 工程 (ii) で同定された 2 つの相補的な配列を含有する iRNA 分子を製造する工程

を含み、該製造する工程を細胞中に行なうことができる、標的 mRNA の発現を調節するために二本鎖 iRNA 分子を産生するための方法。

【請求項 28】

前記 iRNA が DNA 構築物によってコードされる、請求項 27 に記載の方法。

【請求項 29】

前記 iRNA 分子が、共にハイブリダイズする 2 個の相補的なヌクレオチド配列を分離する第 3 のヌクレオチド配列をさらに含む、請求項 27 に記載の方法。

【請求項 30】

前記相補的な配列が約 19 ~ 32 ヌクレオチド長である、請求項 27 に記載の方法。

【請求項 31】

1 つの遺伝子の少なくとも 2 つの領域の発現を調節し、前記遺伝子の発現が機能的に排除される、1 個の iRNA 分子。

【請求項 32】

標的 mRNA の同じ領域を標的化する 2 つの iRNA 分子を投与する工程

を含む、標的 mRNA の発現を排除するための方法。

【請求項 33】

遺伝子ファミリーの全てのメンバーに共通の相同性領域を標的化することによって、前記遺伝子ファミリーの発現を調節する 1 個の iRNA 分子。

【請求項 34】

ブタ内因性レトロウイルスの発現を阻害する iRNA 分子。

【請求項 35】

複数の種類のブタ内因性レトロウイルス (PERV) に結合する、請求項 34 に記載の iRNA。

【請求項 36】

前記 iRNA が PERV - A 及び PERV - B に結合する、請求項 34 に記載の iRNA。

【請求項 37】

前記 iRNA が PERV - A 及び PERV - C に結合する、請求項 34 に記載の iRNA。

【請求項 38】

前記 iRNA が PERV - B 及び PERV - C に結合する、請求項 34 に記載の iRNA。

【請求項 39】

前記ブタ内因性レトロウイルスの env 領域を標的化する、請求項 34 に記載の iRNA 分子。

【請求項 40】

前記ブタ内因性レトロウイルスの gag 領域を標的化する、請求項 39 に記載の iRNA 分子。

【請求項 41】

前記ブタ内因性レトロウイルスの pol 領域を標的化する、請求項 40 に記載の iRNA 分子。

【請求項 42】

以下の gag 配列を標的化する、請求項 40 に記載の iRNA 分子：

G T T A G A T C C A G G G C T C A T A A T、又はこれに実質的に相同性を有するか、又はこれにハイブリダイズする配列。

【請求項 4 3】

以下の p o l 配列を標的化する、請求項 4 1 に記載の i R N A 分子：

G T T A G A T C C A G G G C T C A T A A T、又はこれに実質的に相同性を有するか、又はこれにハイブリダイズする配列。