

【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】令和 2 年 3 月 26 日 (2020.3.26)

【公表番号】特表 2019-504868 (P2019-504868A)

【公表日】平成 31 年 2 月 21 日 (2019.2.21)

【年通号数】公開・登録公報 2019-007

【出願番号】特願 2018-543090 (P2018-543090)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 35/761 (2015.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 31/14 (2006.01)

A 6 1 P 31/18 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 15/861 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 N 15/49 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 35/761

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 31/14

A 6 1 P 31/18

C 1 2 N 15/09 1 1 0

C 1 2 N 15/861 Z N A Z

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/49

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 2 月 13 日 (2020.2.13)

【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】

遺伝子編集剤と、少なくとも 1 つのガイド RNA ( g RNA ) とをコードする単離核酸を含むウイルスベクターであって、当該少なくとも 1 つの g RNAが、コードおよび/または非コードレトロウイルス遺伝子配列の標的核酸配列、レトロウイルス群に特異的な抗原の標的核酸配列、またはそれらの組合せに相補的である、ウイルスベクター。

【請求項 2】

上記ウイルスベクターが、アデノウイルスベクター、アデノ随伴ウイルスベクター ( A A V )、またはそれらの誘導体である、請求項 1 に記載のウイルスベクター。

【請求項 3】

上記アデノ随伴ウイルスベクター ( A A V ) が、A A V 血清型 1、2、3、4、5、6、7、8、9、10、11、D J または D J / 8 である、請求項 2 に記載のウイルスベクター。

【請求項 4】

上記 A A V ベクターが、A A V 血清型 9 ( A A V<sub>9</sub> ) である、請求項 2 または 3 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 5】

上記遺伝子編集剤が、Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeat ( C R I S P R ) 関連エンドヌクレアーゼ、またはそのホモログである、請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載の ウイルスベクター。

【請求項 6】

上記 C R I S P R 関連エンドヌクレアーゼが、C a s 9 またはそのホモログである、請求項 5 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 7】

上記少なくとも 1 つの g R N A が、上記コードおよび / または非コードレトロウイルス遺伝子配列の長い末端反復 ( L T R ) に相補的である、請求項 1 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 8】

上記レトロウイルスがレンチウイルスである、請求項 1 ~ 7 のいずれか 1 項に記載の ウイルスベクター。

【請求項 9】

上記レンチウイルスが、ヒト免疫不全ウイルス、サル免疫不全ウイルス、ネコ免疫不全ウイルス、ウシ免疫不全ウイルス、ビスナウイルス、馬伝染性貧血ウイルスまたはヒト T 細胞白血病ウイルスである、請求項 8 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 10】

上記少なくとも 1 つの g R N A が、標的配列に、上記ヒト免疫不全ウイルスの長い末端反復 ( L T R ) 内で相補的である、請求項 9 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 11】

上記ヒト免疫不全ウイルスの長い末端反復 ( L T R ) 内の 上記標的配列が、上記長い末端反復 ( L T R ) の U 3、R、または U 5 領域内の配列を含む、請求項 10 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 12】

上記群に特異的な抗原が、ヒト免疫不全ウイルスコードおよび / または非コード核酸配列を含む、請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の ウイルスベクター。

【請求項 13】

上記群に特異的な抗原が、g a g、p o l、e n v、t a t、r e v、n e f、v p r、v i f、v p u、t e v、またはそれらの断片を含む、請求項 1 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 14】

トランス活性化小 R N A ( t r a c r R N A ) をコードする配列をさらに含む、請求項 1 ~ 13 のいずれか 1 項に記載の ウイルスベクター。

【請求項 15】

上記トランス活性化小 R N A ( t r a c r R N A ) 配列が、上記ガイド R N A をコードする配列と融合している、請求項 14 に記載の ウイルスベクター。

【請求項 16】

核局在シグナルをコードする配列をさらに含む、請求項 1 ~ 15 のいずれか 1 項に記載の ウイルスベクター。

【請求項 17】

上記少なくとも 1 つの g R N A が配列番号 1 ~ 76 のいずれか 1 つと少なくとも 60 % の配列同一性を有する配列を含む、請求項 1 ~ 16 のいずれか 1 項に記載の ウイルスベクター。

【請求項 18】

上記少なくとも 1 つの g R N A が配列番号 1 ~ 76 のいずれか 1 つを含む、請求項 1 ~ 17 のいずれか 1 項に記載の ウイルスベクター。

## 【請求項 19】

対象のレトロウイルスを不活性化するための、請求項 1 ～ 18 のいずれか 1 項に記載のウイルスベクターの使用。

## 【請求項 20】

ヒト免疫不全ウイルス感染を患う対象を治療するための、請求項 1 ～ 18 のいずれか 1 項に記載のウイルスベクターの使用。