

【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2年12月10日(2020.12.10)

【公表番号】特表2019-525758(P2019-525758A)

【公表日】令和1年9月12日(2019.9.12)

【年通号数】公開・登録公報2019-037

【出願番号】特願2019-503445(P2019-503445)

【国際特許分類】

C 12 N	15/864	(2006.01)
C 12 N	15/12	(2006.01)
C 12 N	15/35	(2006.01)
C 12 N	5/10	(2006.01)
C 12 N	15/62	(2006.01)
C 12 N	15/866	(2006.01)
C 12 N	7/04	(2006.01)
A 61 K	35/76	(2015.01)
A 61 K	48/00	(2006.01)
A 61 P	21/04	(2006.01)
C 07 K	14/015	(2006.01)
C 07 K	14/47	(2006.01)
C 07 K	19/00	(2006.01)

【F I】

C 12 N	15/864	1 0 0 Z
C 12 N	15/12	Z N A
C 12 N	15/35	
C 12 N	5/10	
C 12 N	15/62	Z
C 12 N	15/866	Z
C 12 N	7/04	
A 61 K	35/76	
A 61 K	48/00	
A 61 P	21/04	
C 07 K	14/015	
C 07 K	14/47	
C 07 K	19/00	

【手続補正書】

【提出日】令和2年10月30日(2020.10.30)

【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) 配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP1領域、(i)
 i) 配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP2領域、または(iii) 配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP3領域と少なくとも95%同一であるアミノ酸配列を含むキャプシドタンパク質と、宿主細胞中で異種

遺伝子の発現を制御する調節配列に作動可能に連結された異種遺伝子を含むトランス遺伝子とを含む、アデノ随伴ウイルス（AAV）。

【請求項2】

前記キャプシドタンパク質が、(i)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP1領域、(ii)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP2領域、または(iii)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP3領域と少なくとも98%同一であるアミノ酸配列を含む、請求項1に記載のAAV。

【請求項3】

前記キャプシドタンパク質が、(i)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP1領域、(ii)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP2領域、または(iii)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP3領域のアミノ酸配列を含む、請求項1に記載のAAV。

【請求項4】

AAV逆方向末端反復をさらに含む、請求項1～3に記載のAAV。

【請求項5】

請求項1～4のいずれか1項に記載のAAVおよび生理学的に適合性の担体を含む、組成物。

【請求項6】

細胞にトランス遺伝子を送達する方法において使用するための、請求項1～4のいずれか1項に記載のAAVを含む組成物であって、前記方法が、前記細胞を請求項1～4のいずれか1項に記載のAAVと接触させることを含む、組成物。

【請求項7】

前記細胞が筋細胞である、請求項6に記載の組成物。

【請求項8】

前記トランス遺伝子がマイクロジストロフィンタンパク質をコードする、請求項6または7に記載の組成物。

【請求項9】

(i)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP1領域、(ii)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP2領域、または(iii)配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのVP3領域と少なくとも95%同一であるアミノ酸配列を含むアデノ随伴ウイルス（AAV）キャプシドタンパク質をコードする核酸配列を含む、ベクター。

【請求項10】

前記核酸配列が、宿主細胞中で前記キャプシドタンパク質の発現を制御する異種調節配列に作動可能に連結されている、請求項9に記載のベクター。

【請求項11】

請求項9または10に記載のベクターを含む、細胞。

【請求項12】

障害または疾患の治療に使用するための、請求項1～4のいずれか1項に記載のAAVを含む組成物。

【請求項13】

前記障害または疾患が内在性タンパク質の異常な活性に関連し、前記トランス遺伝子が、前記内在性タンパク質の機能的バージョンをコードする、請求項12に記載の組成物。

【請求項14】

前記障害または疾患がデュシェンヌ型筋ジストロフィーであり、前記トランス遺伝子がマイクロジストロフィンタンパク質をコードする、請求項12または13に記載の組成物。

【請求項15】

アデノ随伴ウイルス（AAV）を生成する方法であって、

(a) 細胞を培養して前記AAVを生成する工程であって、前記細胞がキャプシドタンパク質をコードするヌクレオチド配列を含み、前記キャプシドタンパク質が、配列番号28、29、30、31および16のうちの1つからのVP1領域、VP2領域、またはVP3領域と少なくとも95%配列同一であるアミノ酸配列を含む、工程と、

(b) 前記細胞の培養物から前記AAVを回収する工程と
を含む、方法。

【請求項16】

前記ヌクレオチド配列が、配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つと少なくとも98%同一であるAAVキャプシドタンパク質をコードする、請求項15に記載の方法。

【請求項17】

前記ヌクレオチド配列が、配列番号28、29、30、31および16のいずれか1つのAAVキャプシドタンパク質をコードする、請求項15に記載の方法。