

【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 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

C 1 2 N 15/35 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/62 (2006.01)

C 1 2 N 15/866 (2006.01)

C 1 2 N 7/04 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

C 0 7 K 14/015 (2006.01)

C 0 7 K 14/47 (2006.01)

C 0 7 K 19/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/12 Z N A

C 1 2 N 15/35

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 15/62 Z

C 1 2 N 15/866 Z

C 1 2 N 7/04

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 21/04

C 0 7 K 14/015

C 0 7 K 14/47

C 0 7 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 2 8、2 9、3 0、3 1 および 1 6 のいずれか 1 つの V P 1 領域、(i i) 配列番号 2 8、2 9、3 0、3 1 および 1 6 のいずれか 1 つの V P 2 領域、または (i i i) 配列番号 2 8、2 9、3 0、3 1 および 1 6 のいずれか 1 つの V P 3 領域と少なくとも 9 5 % 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 A A V 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 2 8、2 9、3 0、3 1 および 1 6 のうちの 1 つからの V P 1 領域、V P 2 領域、または V P 3 領域と少なくとも 9 5 % 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 A A V を回収する工程とを含む、方法。

【請求項 1 6】

前記ヌクレオチド配列が、配列番号 2 8、2 9、3 0、3 1 および 1 6 のいずれか 1 つと少なくとも 9 8 % 同一である A A V キャプシドタンパク質をコードする、請求項 1 5 に記載の方法。

【請求項 1 7】

前記ヌクレオチド配列が、配列番号 2 8、2 9、3 0、3 1 および 1 6 のいずれか 1 つの A A V キャプシドタンパク質をコードする、請求項 1 5 に記載の方法。