

【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1年8月29日(2019.8.29)

【公開番号】特開2019-1805(P2019-1805A)

【公開日】平成31年1月10日(2019.1.10)

【年通号数】公開・登録公報2019-001

【出願番号】特願2018-159034(P2018-159034)

【国際特許分類】

C 0 7 K 14/015 (2006.01)

C 1 2 N 15/35 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

【F I】

C 0 7 K 14/015 Z N A

C 1 2 N 15/35

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

【手続補正書】

【提出日】令和1年7月17日(2019.7.17)

【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】

以下のアミノ酸置換：

a) A A V 2におけるA 2 6 6 Sに対応するアミノ酸置換、

b) A A V 2のアミノ酸4 6 3 ~ 4 7 5におけるS Q A G A S D I R D Q S R 4 6 3 ~ 4 7 5 S V A G P S N M A V Q G Rに対応するアミノ酸置換、および

c) A A V 2のアミノ酸4 9 9 ~ 5 0 2におけるE Y S W 4 9 9 ~ 5 0 2 E F A Wに対応するアミノ酸置換

を含み、前記置換がドナーA A V 9血清型由来のガラクトース結合部位を鋳型レシピエントA A V血清型のカプシドタンパク質中に導入する、アデノ随伴ウイルス(A A V)カプシドタンパク質。

【請求項2】

前記レシピエントA A V血清型が、ヒトA A Vおよび非ヒトA A Vからなる群から選択される、請求項1に記載のA A Vカプシドタンパク質。

【請求項3】

前記レシピエントA A V血清型が、ヒトA A V、非ヒト霊長類A A V、トリA A VおよびウシA A Vからなる群から選択される、請求項2に記載のA A Vカプシドタンパク質。

【請求項4】

前記レシピエントA A V血清型が、A A V 1、A A V 2、A A V 3 a、A A V 3 b、A A V 4、A A V 5、A A V 6、A A V 7、A A V 8、A A V 9、A A V 10、トリA A V、B B 1、B B 2、C H 5、C Y 2、C Y 3、C Y 4、C Y 5、C Y 6、Hu L G 1 5、Hu S 1 7、Hu T 1 7、Hu T 4 1、Hu T 7 0、Hu T 7 1、Hu T 8 8、Hu 1、Hu 2、Hu 3、Hu 4、Hu 6、Hu 7、Hu 9、Hu 10、Hu 11、Hu 13、Hu 15、Hu 16、Hu 17、Hu 18、Hu 19、Hu 20、Hu 21、Hu 22、Hu 23、Hu 24、Hu 25、Hu 27、Hu 28、Hu 29、Hu 34、Hu 35、Hu 37、Hu 39、Hu 40、Hu 41、Hu 42、Hu 43、Hu 44

、Hu 45、Hu 46、Hu 47、Hu 48、Hu 49、Hu 51、Hu 52、Hu 54、Hu 55、Hu 56、Hu 57、Hu 58、Hu 60、Hu 61、Hu 63、Hu 64、Hu 66、Hu 67、Rh 1、Rh 2、Rh 8、Rh 10、Rh 12、Rh 13、Rh 14、Rh 16、Rh 17、Rh 18、Rh 19、Rh 22、Rh 23、Rh 24、Rh 25、Rh 26、Rh 27、Rh 31、Rh 32、Rh 33、Rh 34、Rh 35、Rh 36、Rh 37、Rh 38、Rh 40、Rh 43、Rh 48、Rh 49、Rh 50、Rh 51、Rh 52、Rh 53、Rh 54、Rh 55、Rh 57、Rh 58、Rh 60、Rh 61、Rh 62およびRh 64からなる群から選択される、請求項1に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項5】

前記レシピエントAAV血清型が、AAV1、AAV2、AAV3a、AAV3b、AAV4、AAV5、AAV6、AAV7、AAV8、AAV9およびAAV10からなる群から選択される、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項6】

前記レシピエントAAV血清型がAAV1であり、前記対応するアミノ酸置換が、A267S、SRGSPAGMSVQPK464～476SVAGPSNMAVQGR、およびNFTW500～503EFAWである、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項7】

前記レシピエントAAV血清型がAAV2である、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項8】

アミノ酸585～590がQQNTAPによる置換をさらに含む、請求項7に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項9】

前記レシピエントAAV血清型がAAV3aであり、前記対応するアミノ酸置換が、A266S、SQAGPQSM SLQAR464～476SVAGPSNMAVQGR、およびNFPW500～503EFAWである、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項10】

前記レシピエントAAV血清型がAAV3bであり、前記対応するアミノ酸置換が、A266S、SQAGPQSM SLQAR464～476SVAGPSNMAVQGR、およびNFPW500～503EFAWである、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項11】

前記レシピエントAAV血清型がAAV4であり、前記対応するアミノ酸置換が、N261の前におけるSSNDの挿入、TKLRPTNFSNFKK458～470SVAGPSNMAVQGR、およびDSL I499～502EFAWである、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項12】

前記レシピエントAAV血清型がAAV5であり、前記対応するアミノ酸置換が、G257S、NKNLAGRYANTYK450～463SVAGPSNMAVQGR、およびVSAF486～489EFAWである、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項13】

前記レシピエントAAV血清型がAAV6であり、前記対応するアミノ酸置換が、A267S、SRGSPAGMSVQPK464～476SVAGPSNMAVQGR、およびNFTW500～503EFAWである、請求項4に記載のAAVカプシドタンパク質。

【請求項14】

前記レシピエント AAV 血清型が AAV7 であり、前記対応するアミノ酸置換が、VQGGPSTMAEQAK466 ~ 478SVAGPSNMAVQGR、および NFAW502 ~ 505EFAW である、請求項 4 に記載の AAV カプシドタンパク質。

【請求項 15】

前記レシピエント AAV 血清型が AAV8 であり、前記対応するアミノ酸置換が、A269S、SQGGPNTNANQAK466 ~ 478SVAGPSNMAVQGR、および NFAW502 ~ 505EFAW である、請求項 4 に記載の AAV カプシドタンパク質。

【請求項 16】

前記レシピエント AAV 血清型が AAV10 であり、前記対応するアミノ酸置換が、T270S、SQAGPANMSAQAK466 ~ 478SVAGPSNMAVQGR、および N502E である、請求項 4 に記載の AAV カプシドタンパク質。

【請求項 17】

請求項 1 に記載の AAV カプシドタンパク質を含む、AAV カプシド。

【請求項 18】

(a) 請求項 17 に記載の AAV カプシドと、  
(b) 少なくとも 1 つの末端反復配列を含む核酸と、  
を含むウイルスベクターであって、前記核酸が、前記 AAV カプシドによってカプシド封入されている、ウイルスベクター。

【請求項 19】

薬学的に許容される担体中に、請求項 1 に記載の AAV カプシドタンパク質、請求項 17 に記載の AAV カプシドまたは請求項 18 に記載のウイルスベクターを含む、組成物。

【請求項 20】

細胞を請求項 18 に記載のウイルスベクターと接触させるステップを含む、細胞中に核酸を導入する方法。

【請求項 21】

前記細胞が対象中に存在する、請求項 20 記載の方法。

【請求項 22】

前記対象がヒト対象である、請求項 21 に記載の方法。

【請求項 23】

AAV8 - VP1 の番号付けで、A269S、Q467V、G468A、N471S、T472N、N473M、N475V、A477G、K478R、および N502E の置換が導入された AAV8 カプシドアミノ酸配列を含む 8 型アデノ随伴ウイルス (AAV8) カプシドタンパク質。

【請求項 24】

請求項 23 に記載の AAV カプシドタンパク質を含む、AAV カプシド。

【請求項 25】

(a) 請求項 24 に記載の AAV カプシドと、  
(b) 少なくとも 1 つの末端反復配列を含む核酸と、  
を含むウイルスベクターであって、前記核酸が、前記 AAV カプシドによってカプシド封入されている、ウイルスベクター。

【請求項 26】

薬学的に許容される担体中に、請求項 23 に記載の AAV カプシドタンパク質、請求項 24 に記載の AAV カプシドまたは請求項 25 に記載のウイルスベクターを含む、組成物。

【請求項 27】

細胞を請求項 25 に記載のウイルスベクターと接触させるステップを含む、細胞中に核酸を導入する方法。

【請求項 28】

前記細胞が対象中に存在する、請求項 27 記載の方法。

【請求項 29】

前記対象がヒット対象である、請求項 28 に記載の方法。