

【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6年7月26日(2024.7.26)

【国際公開番号】WO2022/018518

【公表番号】特表2023-542279(P2023-542279A)

【公表日】令和5年10月6日(2023.10.6)

【年通号数】公開公報(特許)2023-189

【出願番号】特願2023-512665(P2023-512665)

【国際特許分類】

A 61K 48/00(2006.01)

C 12N 15/35(2006.01)

C 12N 15/12(2006.01)

C 07K 14/015(2006.01)

C 07K 14/47(2006.01)

C 12N 7/01(2006.01)

A 61K 38/17(2006.01)

A 61P 27/02(2006.01)

A 61K 31/711(2006.01)

10

【F I】

20

A 61K 48/00

C 12N 15/35 Z N A

C 12N 15/12

C 07K 14/015

C 07K 14/47

C 12N 7/01

A 61K 38/17

A 61P 27/02

A 61K 31/711

30

【手続補正書】

【提出日】令和6年7月17日(2024.7.17)

【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】

(i) 第1のプロモータに操作可能に連結された第1の配列、および第2のプロモータに操作可能に連結された第2の配列を含む第1のポリヌクレオチドであって、前記第1の配列がアデノ随伴ウイルス(AAV)カプシドタンパク質をコードし、前記第2の配列がAAV repタンパク質をコードし、前記第1のプロモータおよび前記第2のプロモータが昆虫細胞中での発現に好適である、第1のポリヌクレオチドと、

(ii) CMVプロモータ、CAGプロモータ、MNDU3プロモータ、PGKプロモータ、EF1aプロモータ、または眼に特異的なプロモータに操作可能に連結された第3の配列を含む第2のポリヌクレオチドであって、前記第3の配列が網膜色素変性症GTPase調節因子(RPGR)ポリペプチドをコードする、第2のポリヌクレオチドとを含む、組成物であって、

前記第3の配列が、配列番号2、配列番号3、配列番号4、配列番号5、または配列番

40

50

号 6 を含むコドン最適化された R P G R O R F 1 5 ポリペプチドをコードし、前記昆虫細胞が S f 9 細胞である、組成物。

【請求項 2】

前記第 1 のプロモータまたは前記第 2 のプロモータが、 p 1 0 プロモータまたは p o 1 h プロモータである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

前記眼に特異的なプロモータが、 R P E 6 5 遺伝子プロモータ、細胞レチンアルデヒド結合タンパク質 ( C R A L B P ) 、マウス 1 1 - シス - レチノールデヒドロゲナーゼ ( R D H ) プロモータ、ロドプシンプロモータ、ロドプシンキナーゼ ( G R K 1 ) プロモータ、メタロプロテイナーゼ 3 の組織阻害薬 ( T I M P 3 ) プロモータ、光受容体レチノール結合タンパク質プロモータ、卵黄様黄斑ジストロフィー 2 プロモータ、および光受容体間レチノイド結合タンパク質 ( I R B P ) プロモータからなる群から選択される、請求項 1 に記載の組成物。

10

【請求項 4】

前記ロドプシンキナーゼ ( G R K 1 ) プロモータが、配列番号 7 ~ 8 のいずれか 1 つを含む、請求項 3 に記載の組成物。

【請求項 5】

前記第 1 の配列の 3 ' 末端が第 1 のポリ A 配列をさらに含み、および / または前記第 2 の配列の 3 ' 末端が第 2 のポリ A 配列をさらに含み、および / または前記第 3 の配列の 3 ' 末端が第 3 のポリ A 配列をさらに含む、請求項 1 に記載の組成物。

20

【請求項 6】

前記第 1 のポリ A 配列、前記第 2 のポリ A 配列、および前記第 3 のポリ A 配列のそれぞれが、独立して配列番号 9 ~ 1 2 のいずれか 1 つを含む、請求項 5 に記載の組成物。

【請求項 7】

前記第 2 のポリヌクレオチドがスタッファー配列をさらに含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 8】

前記第 2 のポリヌクレオチドが末端逆位反復 ( I T R ) 配列をさらに含むか、または前記第 2 のポリヌクレオチドが、治療タンパク質をコードする第 4 の配列をさらに含み、前記治療タンパク質が、 R P G R I P 1 、 R P G R I P 1 L 、 S M C 1 、 S M C 3 、 W h i r l i n 、 P D E 5 、および R A B 8 からなる群から選択される、請求項 1 に記載の組成物。

30

【請求項 9】

前記末端逆位反復 ( I T R ) 配列が、アデノ随伴ウイルス ( A A V ) セロタイプ 2 の I T R 配列であるか、または前記第 3 の配列および前記第 4 の配列が、リンクマークをコードする配列によって接続される、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 10】

配列番号 1 3 を含むイントロン配列をさらに含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 11】

前記第 1 のポリヌクレオチドが、アデノ随伴ウイルス ( A A V ) セロタイプ 5 の配列を含む、請求項 1 に記載の組成物。

40

【請求項 12】

請求項 1 ~ 1 1 のいずれか一項に記載の組成物を S f 9 細胞に導入することによって調製される、組換えアデノ随伴ウイルス ( r A A V ) 粒子。

【請求項 13】

X 連鎖性網膜色素変性症を処置するためのシステムであって、請求項 1 2 に記載の組換えアデノ随伴ウイルス ( r A A V ) 粒子および薬学的に許容可能な担体を含むシステム。

【請求項 14】

X 連鎖性網膜色素変性症の処置を必要とする対象における X 連鎖性網膜色素変性症の処置に使用するための、請求項 1 3 に記載のシステム。

50