

【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】

10

A 6 1 K 48/00(2006.01)
C 1 2 N 15/35(2006.01)
C 1 2 N 15/12(2006.01)
C 0 7 K 14/015(2006.01)
C 0 7 K 14/47(2006.01)
C 1 2 N 7/01(2006.01)
A 6 1 K 38/17(2006.01)
A 6 1 P 27/02(2006.01)
A 6 1 K 31/711(2006.01)

【F I】

20

A 6 1 K 48/00
C 1 2 N 15/35 Z N A
C 1 2 N 15/12
C 0 7 K 14/015
C 0 7 K 14/47
C 1 2 N 7/01
A 6 1 K 38/17
A 6 1 P 27/02
A 6 1 K 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 (A A V) カプシドタンパク質をコードし、前記第 2 の配列が A A V r e p 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、

40

(i i) C M V プロモータ、C A G プロモータ、M N D U 3 プロモータ、P G K プロモータ、E F 1 a 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 G T P a s e 調節因子 (R P G R) 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

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 l 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、細胞レチナ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、メタロプロテインナーゼ 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パ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、リンカー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