

【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】平成 19 年 4 月 5 日 (2007.4.5)

【公表番号】特表 2002-535994 (P2002-535994A)
 【公表日】平成 14 年 10 月 29 日 (2002.10.29)
 【出願番号】特願 2000-597444 (P2000-597444)
 【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09 (2006.01)
A 6 1 K 31/711 (2006.01)
A 6 1 K 35/76 (2006.01)
A 6 1 K 48/00 (2006.01)
A 6 1 P 43/00 (2006.01)
C 1 2 N 5/10 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A A
 A 6 1 K 31/711
 A 6 1 K 35/76
 A 6 1 K 48/00
 A 6 1 P 43/00 1 0 5
 C 1 2 N 5/00 B

【手続補正書】
 【提出日】平成 19 年 1 月 23 日 (2007.1.23)
 【手続補正 1】
 【補正対象書類名】明細書
 【補正対象項目名】特許請求の範囲
 【補正方法】変更
 【補正の内容】
 【特許請求の範囲】

【請求項 1】

a) 標的 DNA を含んでなる第 1 のベクターを細胞に導入する工程、前記標的 DNA は制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ (1) 対象の特定配列に隣接する染色体 DNA に相同の DNA および (2) 前記標的 DNA と染色体 DNA との間での組換えの際に対象の特定配列を修復する DNA を含んでなる；ならびに

b) 第 1 のベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなる第 2 のベクターを前記細胞に導入する工程、を含む、細胞の染色体 DNA における対象の特定配列の修復方法。

【請求項 2】

前記標的 DNA が 2 つの制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、一方の部位が前記標的 DNA の 5' 末端にまたはその付近に存在し、かつ他方の部位が前記標的 DNA の 3' 末端にまたはその付近に存在する、請求項 1 記載の方法。

【請求項 3】

a) 標的 DNA を含んでなるベクターを細胞に導入する工程、前記標的 DNA は制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ (1) 対象の特定配列に隣接する染色体 DNA に相同の DNA および (2) 前記標的 DNA と染色体 DNA との間での組換えの際に対象の特定配列を修復する DNA を含んでなる；ならびに

b) ベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼを細胞に導入する工程、を含む、細胞の染色体 DNA における対象の特定配列の修復方法。

【請求項 4】

(a) 制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)対象の特定配列に隣接する染色体DNAに相同のDNAおよび(2)標的DNAと染色体DNAとの間での組換えの際に対象の特定配列を修復するDNAを含んでなる、標的DNA；ならびに(b)制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなるベクターを細胞に導入する工程を含む、細胞の染色体DNAにおける対象の特定配列の修復方法。

【請求項 5】

対象の特定配列が変異である請求項 1、3 または 4 記載の方法。

【請求項 6】

a) 標的DNAを含んでなる第1のベクターを細胞に導入する工程、前記標的DNAは制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)改変対象の特定配列に相同のDNAおよび(2)前記標的DNAと染色体DNAとの間での組換えの際に特定配列を改変するDNAを含んでなる；ならびに

b) 第1のベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなる第2のベクターを細胞に導入する工程、を含む、細胞の染色体DNAにおける特定配列の改変方法。

【請求項 7】

a) 標的DNAを含んでなるベクターを細胞に導入する工程、前記標的DNAは制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)改変対象の特定配列に相同のDNAおよび(2)前記標的DNAと染色体DNAとの間での組換えの際に特定配列を改変するDNAを含んでなる；ならびに

b) 制限エンドヌクレアーゼによる、工程a)のベクターにおける制限エンドヌクレアーゼ部位の切断に適する条件下に、ベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼを細胞に導入する工程、を含む、細胞の染色体DNAにおける特定配列の改変方法。

【請求項 8】

(a) 制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)改変対象の特定配列に相同のDNAおよび(2)標的DNAと染色体DNAとの間での組換えの際に特定配列の改変をもたらすDNAを含んでなる、標的DNA；ならびに(b)制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなるベクターを細胞に導入する工程を含む、細胞の染色体DNAにおける特定配列の改変方法。

【請求項 9】

a) 標的DNAを含んでなる第1のベクターであって、前記標的DNAが制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)対象の特定配列に隣接する染色体DNAに相同のDNAおよび(2)前記標的DNAと染色体DNAとの間での組換えの際に対象の特定配列を修復するDNAを含んでなる第1のベクター；ならびに

b) 第1のベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなる第2のベクターから選択される、その必要がある個体における遺伝病を治療または予防する方法に使用されるベクター。

【請求項 10】

第1のベクターがウイルスベクターである請求項 9 記載のベクター。

【請求項 11】

第2のベクターがウイルスベクターである請求項 10 記載のベクター。

【請求項 12】

第1のベクターがプラスミドである請求項 10 記載のベクター。

【請求項 13】

a) 標的DNAを含んでなる第1のベクターを細胞に導入する工程、前記標的DNAは制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)対象の内因性遺伝子の標的部位

に相同のDNAおよび(2)前記標的DNAと対象の遺伝子との間での組換えの際に対象の遺伝子を転写減衰するDNAを含んでなる；ならびに

b) 第1のベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなる第2のベクターを細胞に導入する工程、を含む、細胞における対象の内因性遺伝子の転写減衰方法。

【請求項14】

a) 標的DNAを含んでなるベクターを細胞に導入する工程、前記標的DNAは制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)対象の内因性遺伝子の標的部位に相同のDNAおよび(2)前記標的DNAと対象の遺伝子との間での組換えの際に対象の遺伝子を転写減衰するDNAを含んでなる；ならびに

b) ベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼを細胞に導入する工程、を含む、細胞における対象の内因性遺伝子の転写減衰方法。

【請求項15】

(a) 制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)対象の内因性遺伝子の標的部位に相同のDNAおよび(2)標的DNAと対象の遺伝子との間での組換えの際に対象の遺伝子を転写減衰するDNAを含んでなる、標的DNA；ならびに(b) 制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなるベクターを細胞に導入する工程を含む、細胞における対象の内因性遺伝子の転写減衰方法。

【請求項16】

a) 標的DNAを含んでなる第1のベクターを細胞に導入する工程、前記標的DNAは制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)標的部位に相同のDNAおよび(2)染色体DNAへの導入対象の変異を含んでなる；ならびに

b) 第1のベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなる第2のベクターを細胞に導入する工程、を含む、細胞の染色体DNAの標的部位への変異の導入方法。

【請求項17】

第1のベクターがウイルスベクターである請求項1、6、13または16いずれか記載の方法。

【請求項18】

第2のベクターがウイルスベクターである請求項1、6、13または16いずれか記載の方法。

【請求項19】

第1のベクターがプラスミドである請求項1、6、13または16いずれか記載の方法。

【請求項20】

a) 標的DNAを含んでなるベクターを細胞に導入する工程、前記標的DNAは制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)標的部位に相同のDNAおよび(2)染色体DNAへの導入対象の変異を含んでなる；ならびに

b) ベクターに存在する制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼを細胞に導入する工程、を含む、細胞の染色体DNAの標的部位への変異の導入方法。

【請求項21】

(a) 制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接しており、かつ(1)標的部位に相同のDNAおよび(2)染色体DNAへの導入対象の変異を含んでなる、標的DNA；ならびに(b) 制限エンドヌクレアーゼ部位を切断する制限エンドヌクレアーゼをコードする核酸を含んでなるベクターを細胞に導入する工程を含む、細胞の染色体DNAの標的部位への変異の導入方法。

【請求項22】

ベクターがウイルスベクターである請求項3、4、7、8、14、15、20または2

1 いずれか記載の方法。

【請求項 2 3】

前記標的 DNA が 2 つの制限エンドヌクレアーゼ部位に隣接する請求項 3、4、6～8
または 13～16、20 または 21 いずれか記載の方法。