

【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24年3月8日(2012.3.8)

【公表番号】特表2011-510647(P2011-510647A)

【公表日】平成23年4月7日(2011.4.7)

【年通号数】公開・登録公報2011-014

【出願番号】特願2010-544739(P2010-544739)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

A 0 1 K 67/027 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

A 6 1 P 31/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 31/20 (2006.01)

A 6 1 P 31/14 (2006.01)

A 6 1 P 31/18 (2006.01)

【 F I 】

C 1 2 N 15/00 Z N A G

C 1 2 N 15/00 A

A 0 1 K 67/027

C 1 2 N 5/00 1 0 2

A 6 1 P 31/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 25/00

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 31/20

A 6 1 P 31/14

A 6 1 P 31/18

【手続補正書】

【提出日】平成24年1月17日(2012.1.17)

【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】

一つもしくはいくつかの容器またはパーツからなるキットを含んでなる組成物であって

、
 (i) 少なくとも U 1 s n R N A または U 1 s n R N A をコードするポリヌクレオチドを含んでなる第一成分であって、前記 U 1 s n R N A が、標的プレ m R N A の 3 ' 末端エクソンの予め選択された領域に特異的に結合するように、イントロンの 5 ' 端の G U コンセンサス配列に対する結合配列が修飾されており、かつ前記標的プレ m R N A のプロセシ

ングを阻害することができるものである、第一成分と、

(i i) (i) で定義した U 1 s n R N A の標的であり、かつ前記標的 m R N A の生体内抑制を生じさせることができる前記プレ m R N A のプロセッシングから得られる m R N A の予め選択された領域を特異的に標的とする、少なくとも一種の遺伝子発現抑制剤を含んでなる第二成分であって、ここで前記抑制剤が s h R N A 、 s h R N A をコードするポリヌクレオチドまたはそれらの組み合わせである第二成分とを含んでなる、組成物。

【請求項 2】

成分 (i i) が、少なくとも一種の s h R N A をコードする配列を含んでなるポリヌクレオチドである、請求項 1 に記載の組成物またはキット。

【請求項 3】

成分 (i) が、同じ標的プレ m R N A の異なる予め選択された領域に特異的に結合するようにイントロンの 5 ' 端の G U コンセンサス配列に対する結合配列が修飾されている U 1 s n R N A をコードするいくつかのポリヌクレオチドを含んでなり、および / または成分 (i i) が、(i) で定義した U 1 s n R N A の標的であり、かつ前記標的 m R N A の生体内抑制を生じさせることができる前記プレ m R N A のプロセッシングから得られる m R N A の異なる予め選択された領域を特異的に標的とする、いくつかの遺伝子発現抑制剤を含んでなる、請求項 1 または 2 のいずれかに記載の組成物またはキット。

【請求項 4】

前記第二成分が抑制剤をコードするポリヌクレオチドであり、前記ポリヌクレオチドと第一成分を構成しているポリヌクレオチドが単一のベクターの一部分を形成する、請求項 1 ~ 3 のいずれかに記載の組成物またはキット。

【請求項 5】

前記単一のベクターが、ウイルスベクターである、請求項 4 に記載の組成物またはキット。

【請求項 6】

前記ウイルスベクターが、アデノウイルス、アデノ随伴ウイルス、レトロウイルス、レンチウイルス、ヘルペスウイルス、S V 4 0、およびアルファウイルスからなる群から選択されるものである、請求項 5 に記載の組成物またはキット。

【請求項 7】

(i) 標的プレ m R N A の 3 ' 末端エクソンの予め選択された領域に特異的に結合するように、イントロンの 5 ' 端の G U コンセンサス配列に対する結合配列が修飾されており、かつ前記標的プレ m R N A のプロセッシングを阻害することができる、少なくとも一種の U 1 s n R N A をコードする配列と、

(i i) (i) で定義したポリヌクレオチドによりコードされている前記 U 1 s n R N A の標的であり、かつ前記標的 m R N A の生体内抑制を生じさせることができる、前記プレ m R N A のプロセッシングから得られる m R N A の予め選択された領域を特異的に標的とする抑制剤をコードする配列であって、ここで前記抑制剤をコードする配列が少なくとも一種の s h R N A をコードするものである配列とを含んでなる、ポリヌクレオチド。

【請求項 8】

前記配列 (i) および (i i) が、発現調節領域に動作可能に結合してなる、請求項 7 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 9】

配列 (i) および (i i) の前記発現調節配列が異なるものである、請求項 8 に記載のポリヌクレオチド。

【請求項 10】

請求項 7 ~ 9 のいずれかに記載のポリヌクレオチドを含んでなる、発現ベクター。

【請求項 11】

前記発現ベクターが、ウイルスベクターである、請求項 10 に記載のベクター。

【請求項 12】

前記ウイルスベクターが、アデノウイルス、アデノ随伴ウイルス、レトロウイルス、レ

ンチウイルス、ヘルペスウイルス、SV40、およびアルファウイルスからなる群より選択されるものである、請求項11に記載のベクター。

【請求項13】

請求項10～12に記載のベクターを含んでなる、細胞。

【請求項14】

ゲノム中に組み込まれた請求項7～9に記載のポリヌクレオチド、請求項11または12のいずれかに記載のベクター、または請求項13に記載の細胞を含んでなる、非ヒトトランスジェニック動物。

【請求項15】

医学分野での使用または薬剤としての使用のための、請求項1～6のいずれかに記載の組成物またはキット、請求項7～9のいずれかに記載のポリヌクレオチド、請求項10～12のいずれかに記載のベクター、または請求項13に記載の細胞。

【請求項16】

感染症疾患、腫瘍性疾患、新生物疾患、または神経変性疾患の治療または予防のための、請求項1～6のいずれかに記載の組成物またはキット、請求項7～9のいずれかに記載のポリヌクレオチド、請求項10～12のいずれかに記載のベクター、または請求項13に記載の細胞。

【請求項17】

感染症疾患、腫瘍性疾患、新生物疾患、または神経変性疾患の治療または予防のための薬剤調製用の請求項1～6のいずれかに記載の組成物またはキット、請求項7～9のいずれかに記載のポリヌクレオチド、請求項10～12のいずれかに記載のベクター、または請求項13に記載の細胞の使用。

【請求項18】

請求項1～6のいずれかに記載の組成物またはキット、請求項7～9のいずれかに記載のポリヌクレオチド、請求項10～12のいずれかに記載のベクター、または請求項13に記載の細胞を、それを必要としている患者に投与することを含んでなる、感染症疾患、腫瘍性疾患、新生物疾患、または神経変性疾患の治療方法。

【請求項19】

前記感染症疾患は、ウイルスにより引き起こされる感染症疾患である、請求項16に記載の組成物またはキット、請求項17に記載の使用、または請求項18で定義される方法。

【請求項20】

ウイルスによって引き起こされる感染症疾患が、HBV、HCV、またはHIVによる感染である、請求項19に記載の組成物、キット、または方法。

【請求項21】

請求項1～6のいずれかに記載の組成物またはキット、請求項7～9のいずれかに記載のポリヌクレオチド、請求項10～12のいずれかに記載のベクター、または請求項13に記載の細胞、および薬学的に許容される担体を含んでなる医薬組成物。

【請求項22】

前記第一成分および前記第二成分を同時、逐次または別個に使用することについての説明書を備えてなる、請求項1～6のいずれかに記載の組成物またはキット。

【請求項23】

同時使用、分別使用、または逐次使用のための組み合わせ製剤としての、請求項1～6のいずれかに記載の組成物またはキット。

【請求項24】

生体系における標的遺伝子発現の生体外または生体内転写後阻害の非治療的方法であって、前記系を、請求項1～6のいずれかに記載の組成物、請求項7～9のいずれかに記載のポリヌクレオチド、請求項10～12のいずれかに記載のベクター、または請求項13に記載の細胞と接触させることを含んでなる、方法。

【請求項25】

前記生体モデルが、動物モデルである、請求項 2 4 に記載の方法。

【請求項 2 6】

前記転写後阻害が、同じ機能的経路に關与する 2 つ以上の標的 m R N A の阻害を含む、請求項 2 4 または 2 5 に記載の方法。