

【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 2 年 5 月 7 日 (2020.5.7)

【公表番号】特表 2019-518073 (P2019-518073A)

【公表日】令和 1 年 6 月 27 日 (2019.6.27)

【年通号数】公開・登録公報 2019-025

【出願番号】特願 2019-508309 (P2019-508309)

【国際特許分類】

A 6 1 K 38/16 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/02 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/10 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 Q 1/6897 (2018.01)

C 0 7 K 14/405 (2006.01)

C 0 7 K 19/00 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 38/16 Z N A

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 43/00 1 0 7

A 6 1 P 25/02 1 0 1

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 9/10

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 Q 1/6897 Z

C 0 7 K 14/405

C 0 7 K 19/00

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 3 月 27 日 (2020.3.27)

【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】

哺乳類の網膜神経節細胞 (R G C) を活性化するための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量の C h r i m s o n タンパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 2】

対象でのニューロン介在障害を処置または防止するための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量の C h r i m s o n タンパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 3】

内網膜細胞での光への感受性を回復させるための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量のChrimsontanパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 4】

対象に視覚を回復させるための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量のChrimsontanパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 5】

光覚または光感受性の欠損により視覚を損失した対象に視覚を回復させるための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量のChrimsontanパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 6】

光受容体機能の損失により網膜変性を患う対象の網膜変性を処置または防止するための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量のChrimsontanパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 7】

光覚または光感受性の欠損により視覚を損失したヒトの目の光受容体機能を回復させるための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量のChrimsontanパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 8】

電氣的に活性の細胞を脱分極するための組成物であって、蛍光タンパク質に融合した有効量のChrimsontanパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 9】

網膜神経節細胞（RGC）を活性化するための組成物であって、
RGC 応答を誘起する光刺激レベルが放射線安全性限界より低い、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 10】

前記Chrimsontanパク質はChrimsontan88またはChrimsontanRである、請求項 1 から 8 のいずれか 1 つに記載の組成物。

【請求項 11】

前記蛍光タンパク質はTd-Tomato（TdT）タンパク質および緑色蛍光タンパク質（GFP）から選択される、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

前記TdTタンパク質に融合したChrimsontanパク質は、Chrimsontanパク質単独に比べて光刺激への応答がより効果的である、請求項 11 に記載の組成物。

【請求項 13】

前記蛍光タンパク質は、所定細胞数に対する融合Chrimsontanパク質の発現レベルを、Chrimsontanパク質単独の発現レベルに比べて増大させる、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 14】

前記融合Chrimsontanパク質の発現レベルは、前記Chrimsontanパク質の向上した溶解度、トラフィッキング、および/またはタンパク質構造を通して増大する、請求項 13 に記載の組成物。

【請求項 15】

前記ベクターはアデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターである、請求項 1 から 8 のいずれか 1 つに記載の組成物。

【請求項 16】

前記AAVベクターはAAV2ベクターおよびAAV2.7m8ベクターから選択される、請求項 15 に記載の組成物。

【請求項 17】

前記AAVベクターはAAV2.7m8ベクターである、請求項 16 に記載の組成物。

【請求項 18】

前記ベクターはCAGプロモーターを含む、請求項1から8のいずれか1つに記載の組成物。

【請求項19】

前記ベクターは硝子体内に注射投与されるように用いられる、請求項1から8のいずれか1つに記載の組成物。

【請求項20】

蛍光タンパク質に融合した有効量の前記Chrimsonタンパク質は長期にわたって発現される、請求項1から8のいずれか1つに記載の組成物。

【請求項21】

蛍光タンパク質に融合した前記Chrimsonタンパク質の発現は投与後少なくとも2カ月、または投与後少なくとも11カ月持続する、請求項20に記載の組成物。

【請求項22】

1つまたはそれ以上のChrimsonタンパク質および1つまたはそれ以上の蛍光タンパク質を融合状態でまたは個別にコードする1つまたはそれ以上のポリヌクレオチドを備えた組成物。