

【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(RGC)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Chrimson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Chrimson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 Chrimson タン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 Chrimson タン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 Chrimson タン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 Chrimson タン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 Chrimson タンパク質を発現するベクターを含む組成物。

【請求項 8】

電気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 Chrimson タン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 Chrimson タンパク質は Chrimson 88 または Chrimson R 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 Chrimson タンパク質は、Chrimson タン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 Chrimson タンパク質の発現レベルを、Chrimson タン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 Chrimson タンパク質の発現レベルは、前記 Chrimson タン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ィルス (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 C A G 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 C h r i m s o n 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 C h r i m s o n 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 C h r i m s o n 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。