

【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27年10月8日 (2015.10.8)

【公表番号】特表2014-530603(P2014-530603A)

【公表日】平成26年11月20日 (2014.11.20)

【年通号数】公開・登録公報2014-064

【出願番号】特願2014-534726(P2014-534726)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

A 6 1 P 31/18 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A A

C 1 2 N 15/00 G

A 6 1 P 31/18

A 6 1 K 48/00

【手続補正書】

【提出日】平成27年8月21日 (2015.8.21)

【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】

細胞における H I V の感染または複製を阻害する e x v i v o 方法であって、前記細胞のゲノム内の標的部位に抗 H I V 導入遺伝子を導入することを含み、前記抗 H I V 導入遺伝子は、天然には存在しないジンクフィンガーヌクレアーゼ ( Z F N ) による標的部位の二本鎖切断の後に前記ゲノム内に組み込まれ、さらに、抗 H I V 導入遺伝子は、前記細胞内で発現され、それによって H I V の感染または複製を阻害する、e x v i v o 方法。

【請求項 2】

前記抗 H I V 導入遺伝子は、H I V ポリタンパク質を抑制するジンクフィンガー転写因子をコードする配列、H I V 受容体の発現を抑制するジンクフィンガー転写因子をコードする配列、C C R 5 リボザイム、H I V ポリタンパク質を標的とする s i R N A 配列、T r i m 5 アルファ ( T r i m 5 ) 制限因子をコードする配列、A P O B E C 3 G 制限因子をコードする配列、R e v M 1 0 タンパク質をコードする配列、自殺カセット、およびそれらの組み合わせからなる群から選択される、請求項 1 に記載の e x v i v o 方法。

【請求項 3】

前記標的部位は、C C R 5、C C R 4、A A V S 1、H P R T、アルブミン、および R o s a からなる群から選択される内因性遺伝子である、請求項 1 または 2 に記載の e x v i v o 方法。

【請求項 4】

前記標的部位は、内因性 C C R 5 遺伝子である、請求項 3 に記載の e x v i v o 方法。

【請求項 5】

前記内因性遺伝子が不活性化される、請求項 3 に記載の e x v i v o 方法。

## 【請求項 6】

前記細胞は、幹細胞、T細胞、マクロファージ、樹状細胞、または抗原提示細胞からなる群から選択される、請求項 1～5 のいずれかに記載の e x v i v o 方法。

## 【請求項 7】

前記幹細胞は、胚性幹細胞 (E S C)、人工多能性幹細胞 (i P S C)、および造血幹細胞 / 前駆細胞 (H S P C) からなる群から選択される、請求項 6 に記載の e x v i v o 方法。

## 【請求項 8】

前記細胞中の前記内因性 C C R 5 遺伝子が不活性化される、請求項 1～7 のいずれかに記載の e x v i v o 方法。

## 【請求項 9】

前記細胞中の前記内因性 C X C R 4 遺伝子が不活性化される、請求項 1～8 のいずれかに記載の e x v i v o 方法。

## 【請求項 10】

前記組み込まれた抗 H I V 導入遺伝子の発現は、内因性プロモーターによって駆動される、請求項 1～9 のいずれかに記載の e x v i v o 方法。

## 【請求項 11】

前記抗 H I V 導入遺伝子は、前記導入遺伝子の発現を駆動するプロモーターを含む、請求項 1～9 のいずれかに記載の e x v i v o 方法。

## 【手続補正 2】

## 【補正対象書類名】明細書

## 【補正対象項目名】0019

## 【補正方法】変更

## 【補正の内容】

## 【0019】

当業者は、本開示を全体として考慮すると、これらおよび他の態様を容易に理解するであろう。

本発明は、例えば、以下の項目も提供する。

## (項目 1)

細胞における H I V の感染または複製を阻害する方法であって、  
前記細胞のゲノム内の標的部位に抗 H I V 導入遺伝子を導入することを含み、前記抗 H I V 導入遺伝子は、天然には存在しないジンクフィンガーヌクレアーゼ (Z F N) による標的部位の二本鎖切断の後に前記ゲノム内に組み込まれ、さらに、抗 H I V 導入遺伝子は、前記細胞内で発現され、それによって H I V の感染または複製を阻害する、方法。

## (項目 2)

前記抗 H I V 導入遺伝子は、H I V ポリタンパク質を抑制するジンクフィンガー転写因子をコードする配列、H I V 受容体の発現を抑制するジンクフィンガー転写因子をコードする配列、C C R 5 リボザイム、H I V ポリタンパク質を標的とする s i R N A 配列、T r i m 5 アルファ (T r i m 5) 制限因子をコードする配列、A P O B E C 3 G 制限因子をコードする配列、R e v M 1 0 タンパク質をコードする配列、自殺カセット、およびそれらの組み合わせからなる群から選択される、項目 1 に記載の方法。

## (項目 3)

前記標的部位は、C C R 5、C C R 4、A A V S 1、H P R T、アルブミン、および R o s a からなる群から選択される内因性遺伝子である、項目 1 または 2 に記載の方法。

## (項目 4)

前記標的部位は、内因性 C C R 5 遺伝子である、項目 3 に記載の方法。

## (項目 5)

前記内因性遺伝子が不活性化される、項目 3 に記載の方法。

( 項目 6 )

前記細胞は、幹細胞、T細胞、マクロファージ、樹状細胞、または抗原提示細胞からなる群から選択される、項目1～5のいずれかに記載の方法。

( 項目 7 )

前記幹細胞は、胚性幹細胞 ( E S C )、人工多能性幹細胞 ( i P S C )、および造血幹細胞 / 前駆細胞 ( H S P C ) からなる群から選択される、項目6に記載の方法。

( 項目 8 )

前記細胞中の前記内因性 C C R 5 遺伝子が不活性化される、項目1～7のいずれかに記載の方法。

( 項目 9 )

前記細胞中の前記内因性 C X C R 4 遺伝子が不活性化される、項目1～8のいずれかに記載の方法。

( 項目 1 0 )

前記組み込まれた抗 H I V 導入遺伝子の発現は、内因性プロモーターによって駆動される、項目1～9のいずれかに記載の方法。

( 項目 1 1 )

前記抗 H I V 導入遺伝子は、前記導入遺伝子の発現を駆動するプロモーターを含む、項目1～9のいずれかに記載の方法。