

【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】令和5年6月27日(2023.6.27)

【公開番号】特開2023-52051(P2023-52051A)  
 【公開日】令和5年4月11日(2023.4.11)  
 【年通号数】公開公報(特許)2023-067  
 【出願番号】特願2022-206177(P2022-206177)  
 【国際特許分類】

C 1 2 N 1 5 / 0 9 ( 2 0 0 6 . 0 1 )

10

【 F I 】

C 1 2 N 1 5 / 0 9 1 1 0

C 1 2 N 1 5 / 0 9 Z N A

【手続補正書】

【提出日】令和5年6月16日(2023.6.16)

【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

20

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

標的RNA配列を改変するための天然に存在しない又はエンジニアリングされた組成物であって、

(a) Cas13a、

(b) Cas13aと複合体を形成し、標的RNA配列の標的配列への前記複合体の配列特異的結合を指向することができるガイド分子、および

(c) Cas13aに関連する1つまたは複数の異種機能ドメイン、を含む組成物。

30

【請求項2】

前記Cas13aが、レプトトリキア・シャーイ(Leptotrichia shahii)、レプトトリキア・ウエイデイ(Leptotrichia wadei) F0279(Lw2)、リステリア・ゼーリゲリ(Listeria seeligeri)、ラクノスピラ科(Lachnospiraceae)細菌MA2020、ラクノスピラ科(Lachnospiraceae)細菌NK4A179、クロストリジウム・アミノフィルム(Clostridium aminophilum) DSM 10710、カルノバクテリウム・ガリナルム(Carnobacterium gallinarum) DSM 4847、パルディバクター・プロピオニシゲネス(Paludibacter propionici genes) WB4、リステリア・ウェイヘンステファネンシス(Listeria weihenstephanensis) FSL R9-0317、リステリア科(Listeriaceae)細菌FSL M6-0635、ロドバクター・カプスラータス(Rhodobacter capsulatus) SB 1003、ロドバクター・カプスラータス(Rhodobacter capsulatus) R121、またはロドバクター・カプスラータス(Rhodobacter capsulatus) DE442から選択される、請求項1に記載の組成物。

40

【請求項3】

Cas13aが触媒的に不活性である、請求項1に記載の組成物。

【請求項4】

前記1つ以上の異種機能ドメインがアデノシンをイノシンに変換する、請求項1に記載

50

の組成物。

【請求項 5】

前記 1 つ以上の異種機能ドメインが A D A R 酵素または A P O B E C 酵素である、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 6】

前記 1 つ以上の異種機能ドメインがシトシンをウラシルに変換する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 7】

前記 1 つ以上の異種機能ドメインが A I D 酵素である、請求項 6 に記載の組成物。

【請求項 8】

C a s 1 3 a が 1 つまたは複数の核局在化シグナルを含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 9】

請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の組成物を含む細胞。

【請求項 10】

前記細胞が原核細胞である、請求項 9 に記載の細胞。

【請求項 11】

前記細胞が真核細胞である、請求項 9 に記載の細胞。

【請求項 12】

前記細胞が哺乳動物細胞またはヒト細胞である、請求項 11 に記載の真核細胞。

【請求項 13】

請求項 11 又は 12 に記載の細胞を含む細胞株、またはその子孫。

【請求項 14】

請求項 11 又は 12 に記載の 1 つまたは複数の細胞を含む多細胞生物、ただし前記多細胞生物は動物または植物を含まない。

【請求項 15】

請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の組成物をコードする 1 以上のポリヌクレオチド。

【請求項 16】

前記 1 以上のポリヌクレオチドが D N A であり、ガイド分子をコードする配列をさらに含む、請求項 15 に記載の 1 以上のポリヌクレオチド。

【請求項 17】

( a ) C a s 1 3 a 、  
 ( b ) C a s 1 3 a と複合体を形成し、標的 R N A 配列の標的配列への前記複合体の配列特異的結合を指向することができるガイド分子、および  
 ( c ) C a s 1 3 a に関連する 1 つまたは複数の異種機能ドメイン、  
 を含む天然に存在しない又はエンジニアリングされた組成物を送達するように構成された送達系。

【請求項 18】

前記 C a s 1 3 a が、レプトトリキア・シャーイ (*Leptotrichia shahii*)、レプトトリキア・ウエイデイ (*Leptotrichia wadei*) F 0 2 7 9 ( L w 2 )、リステリア・ゼーリゲリ (*Listeria seeligeri*)、ラクノスピラ科 (*Lachnospiraceae*) 細菌 M A 2 0 2 0、ラクノスピラ科 (*Lachnospiraceae*) 細菌 N K 4 A 1 7 9、クロストリジウム・アミノフィルム (*Clostridium aminophilum*) D S M 1 0 7 1 0、カルノバクテリウム・ガリナルム (*Carnobacterium gallinarum*) D S M 4 8 4 7、パルディバクター・プロピオニシゲネス (*Paludibacter propionici genes*) W B 4、リステリア・ウェイヘンステファネシス (*Listeria weihenstephanensis*) F S L R 9 - 0 3 1 7、リステリア科 (*Listeriaceae*) 細菌 F S L M 6 - 0 6 3 5、ロドバクター・カプスラータス (*Rhodobacter capsulatus*) S B 1 0 0 3、ロドバクター・カプスラータス (*Rhodobacter capsulatus*)

10

20

30

40

50

) R 1 2 1、または ロドバクター・カプスラータス ( R h o d o b a c t e r c a p s u l a t u s ) D E 4 4 2 から選択される、請求項 1 7 に記載の送達系。

【請求項 1 9】

C a s 1 3 a が触媒的に不活性である、請求項 1 7 に記載の送達系。

【請求項 2 0】

前記 1 つ以上の異種機能ドメインがアデノシンをイノシンに変換する、請求項 1 7 に記載の送達系。

【請求項 2 1】

前記 1 つ以上の異種機能ドメインが A D A R 酵素または A P O B E C 酵素である、請求項 2 0 に記載の送達系。

【請求項 2 2】

前記 1 つ以上の異種機能ドメインがシトシンをウラシルに変換する、請求項 1 7 に記載の送達系。

【請求項 2 3】

前記 1 つ以上の異種機能ドメインが A I D 酵素である、請求項 2 2 に記載の送達系。

【請求項 2 4】

C a s 1 3 a が 1 つまたは複数の核局在化シグナルを含む、請求項 1 7 に記載の送達系。

【請求項 2 5】

1 以上のベクターまたは 1 以上のポリヌクレオチドをさらに含み、前記 1 以上のベクターまたはポリヌクレオチドが、前記 C a s 1 3 a および 1 以上のガイド分子をコードする 1 以上のポリヌクレオチドを含む、請求項 1 7 に記載の送達系。

【請求項 2 6】

1 以上のリポソーム、粒子、エキソソーム、微小胞、遺伝子銃又はウイルスベクターを含む送達媒体をさらに含む、請求項 1 7 に記載の送達系。

10

20

30

40

50