

【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 6 年 10 月 17 日(2024.10.17)

【公開番号】特開 2024-84849(P2024-84849A)

【公開日】令和 6 年 6 月 25 日(2024.6.25)

【年通号数】公開公報(特許)2024-117

【出願番号】特願 2024-63151(P2024-63151)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/54(2006.01)

10

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 5/10(2006.01)

C 1 2 Q 1/04(2006.01)

C 1 2 N 15/86(2006.01)

A 6 1 P 7/00(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 35/15(2015.01)

A 6 1 K 35/17(2015.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

20

【F I】

C 1 2 N 15/54 Z N A

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 5/10

C 1 2 Q 1/04

C 1 2 N 15/86 Z

A 6 1 P 7/00

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 35/15

A 6 1 K 35/17

A 6 1 K 35/76

C 1 2 N 15/63 Z

30

【手続補正書】

【提出日】令和 6 年 10 月 7 日(2024.10.7)

【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】

40

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

インビトロまたはエキスピボで細胞を改変する方法であって、

(i) CBX3 遺伝子のエキソン 1 および CBX3 遺伝子の選択的エキソン 1 を含み、0.5 kb から 1 kb の範囲内の長さを有する遍在性クロマチンオープニングエレメント(UCOE)をコードする第 1 の核酸；

(ii) BTK プロモーターをコードする第 2 の核酸；および

(iii) BTK をコードする第 3 の核酸

を含むポリヌクレオチドを細胞に導入する工程を含む方法。

【請求項 2】

50

前記UCOEが、0.7kb以下の長さを有する、請求項1に記載の方法。

【請求項3】

前記UCOEが、野生型CBX3遺伝子内のエキソン1と選択的エキソン1の間に位置する潜在的スプライス受容部位を欠損している、請求項1または2に記載の方法。

【請求項4】

前記UCOEが、野生型CBX3遺伝子内のエキソン1の3'末端に位置するスプライス受容部位を欠損している、請求項1～3のいずれか一項に記載の方法。

【請求項5】

前記第1の核酸が、配列番号1に示されるヌクレオチド配列を含む、請求項1～4のいずれか一項に記載の方法。

10

【請求項6】

前記第1の核酸が、配列番号2に示されるヌクレオチド配列を含む、請求項1～4のいずれか一項に記載の方法。

【請求項7】

前記BTKプロモーターが、配列番号5に示されるヌクレオチド配列を含む、請求項1～6のいずれか一項に記載の方法。

【請求項8】

前記第3の核酸が、ヒトにおける発現用にコドン最適化されている、請求項1～7のいずれか一項に記載の方法。

【請求項9】

20

前記第3の核酸が、配列番号6に示されるヌクレオチド配列を含む、請求項1～8のいずれか一項に記載の方法。

【請求項10】

前記第3の核酸が、配列番号7に示されるヌクレオチド配列を含む、請求項1～8のいずれか一項に記載の方法。

【請求項11】

前記UCOEが逆方向である、請求項1～10のいずれか一項に記載の方法。

【請求項12】

前記UCOEが順方向である、請求項1～10のいずれか一項に記載の方法。

【請求項13】

30

前記ポリヌクレオチドが、ベクターに含まれている、請求項1～12のいずれか一項に記載の方法。

【請求項14】

前記ベクターがウイルスベクターである、請求項13に記載の方法。

【請求項15】

前記ベクターがレンチウイルスベクターである、請求項13または14に記載の方法。

【請求項16】

前記細胞がB細胞である、請求項1～15のいずれか一項に記載の方法。

【請求項17】

前記細胞が骨髄系細胞である、請求項1～15のいずれか一項に記載の方法。

40

【請求項18】

前記細胞が造血幹細胞である、請求項1～15のいずれか一項に記載の方法。

【請求項19】

前記細胞がCD34⁺細胞である、請求項1～15のいずれか一項に記載の方法。

【請求項20】

前記細胞が、X連鎖無 γ グロブリン血症(XLA)を有する対象の自家細胞である、請求項1～19のいずれか一項に記載の方法。