

(12) 特許協力条約に基づいて公開された国際出願

(19) 世界知的所有権機関
国際事務局

(43) 国際公開日
2022年3月10日(10.03.2022)



(10) 国際公開番号

WO 2022/050413 A1

(51) 国際特許分類:
C12N 15/09 (2006.01) C12N 15/864 (2006.01)
C12N 15/63 (2006.01) C12N 9/78 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2021/032689

(22) 国際出願日: 2021年9月6日(06.09.2021)

(25) 国際出願の言語: 日本語

(26) 国際公開の言語: 日本語

(30) 優先権データ:
特願 2020-149419 2020年9月4日(04.09.2020) JP

(71) 出願人: 国立大学法人神戸大学
(NATIONAL UNIVERSITY CORPORATION
KOBE UNIVERSITY) [JP/JP]; 〒6578501 兵庫県神戸市灘区六甲台町1-1 Hyogo (JP).

(72) 発明者: 西田 敬二(NISHIDA, Keiji); 〒6578501
兵庫県神戸市灘区六甲台町1-1 国立
大学法人神戸大学内 Hyogo (JP). リー, ア

ング(LI, Ang); 〒6578501 兵庫県神戸市灘区
六甲台町1-1 国立大学法人神戸大学内
Hyogo (JP). 光延 仁志(MITSUNOBU, Hitoshi);
〒6578501 兵庫県神戸市灘区六甲台町1-1
国立大学法人神戸大学内 Hyogo (JP).

(74) 代理人: 山本 秀策, 外(YAMAMOTO, Shusaku
et al.); 〒5300011 大阪府大阪市北区大深町3-
1 グランフロント大阪 タワーC Osaka (JP).

(81) 指定国(表示のない限り、全ての種類の国内保
護が可能): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ,
BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH,
CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ,
EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN,
HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, IT, JO, JP, KE, KG, KH,
KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY,
MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ,
NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT,

(54) Title: MINIATURIZED CYTIDINE DEAMINASE-CONTAINING COMPLEX FOR MODIFYING DOUBLE-STRANDED DNA

(54) 発明の名称: 小型化シチジンデアミナーゼを含む二本鎖DNAの改変用複合体

(57) Abstract: The present disclosure provides a miniaturized cytidine deaminase-containing complex for modifying DNA, the complex being capable of miniaturizing cytidine deaminase and suppressing off-target effects while suppressing a reduction in the modification efficiency of a target site. The complex is formed by combining a nucleic acid sequence recognition module and cytidine deaminase, wherein: the nucleic acid sequence recognition module specifically binds to a target nucleotide sequence of double-stranded DNA; the cytidine deaminase is composed of (1) an amino acid sequence composed of a region of amino acid residues at the 30th position to 150th position of an amino acid sequence represented by SEQ ID NO: 1, (2) an amino acid sequence, which is an ortholog of a protein composed of an amino acid sequence represented by SEQ ID No:1, the amino acid sequence being composed of a region corresponding to the region in (1), (3) an amino acid sequence having one or several amino acids in the amino acid sequence in (1) or (2) deleted, substituted, inserted, and/or added, or (4) an amino acid sequence having at least 90% similarity to or being identical to the amino acid sequence in (1) or (2); and the targeted site of the double-stranded DNA is modified.

(57) 要約: 本開示は、標的部位の改変効率の低下を抑えつつシチジンデアミナーゼを小型化し、かつオフターゲット効果の抑制も達成できる小型化シチジンデアミナーゼを含むDNA改変用複合体を提供する。核酸配列認識モジュールと、シチジンデアミナーゼとが結合した複合体であって、該核酸配列認識モジュールは、二本鎖DNA中の標的ヌクレオチド配列と特異的に結合し、該シチジンデアミナーゼは、(1) 配列番号1で示されるアミノ酸配列における30位~150位のアミノ酸残基の領域からなるアミノ酸配列、(2) 配列番号1で示されるアミノ酸配列からなるタンパク質のオルソログであって、(1)の領域に対応する領域からなるアミノ酸配列、(3) (1)若しくは(2)のアミノ酸配列において、1若しくは数個のアミノ酸が欠失、置換、挿入及び/若しくは付加されたアミノ酸配列、又は(4) (1)若しくは(2)のアミノ酸配列と90%以上の類似性又は同一性を有するアミノ酸配列、からなり、該二本鎖DNAの標的化された部位を改変する、複合体。

WO 2022/050413 A1

[続葉有]

QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL,
ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG,
US, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

- (84) 指定国(表示のない限り、全ての種類の広域保護が可能): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), ユーラシア (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), ヨーロッパ (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

添付公開書類:

- 国際調査報告 (条約第21条(3))
- 明細書の別個の部分として表した配列リスト (規則5.2(a))