

(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
2024年8月22日(22.08.2024)



(10) 国際公開番号

WO 2024/172027 A1

(51) 国際特許分類:
C12N 15/864 (2006.01) C12N 15/35 (2006.01)
C12N 15/34 (2006.01) C12N 15/88 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2024/004838

(22) 国際出願日: 2024年2月13日(13.02.2024)

(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 2023-023545 2023年2月17日(17.02.2023) JP

(71) 出願人: 株式会社シンプロジェン(SYNPROGEN
CO., LTD.) [JP/JP]; 〒6500047 兵庫県神戸市中央
区港島南町六丁目3番7 Hyogo (JP).

(72) 発明者: 西村 勇哉 (NISHIMURA, Yuya);
〒6500047 兵庫県神戸市中央区港島南町六丁
目3番7 株式会社シンプロジェン内 Hyogo
(JP). 齋藤 俊介(SAITO, Shunsuke); 〒6500047
兵庫県神戸市中央区港島南町六丁目3番7 株
式会社シンプロジェン内 Hyogo (JP).

(74) 代理人: 鎌田 光宜, 外(KAMADA, Mitsunori et
al.); 〒5410044 大阪府大阪市中央区伏見町四
丁目1番1号 明治安田生命大阪御堂筋ビ
ル 高島国際特許事務所 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, CV, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC,
EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR,
HU, ID, IL, IN, IQ, IR, IS, IT, JM, JO, JP, KE, KG,
KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU,

LY, MA, MD, MG, MK, MN, MU, MW, MX, MY,
MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL,
PT, 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, CV, GH, GM, KE, LR, LS,
MW, MZ, NA, RW, SC, 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, ME, 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:

- 一 国際調査報告(条約第21条(3))
- 一 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))

(54) Title: ITR-REP GENE COMPLEX

(54) 発明の名称: I T R - R e p 遺伝子複合体

(57) Abstract: The present disclosure provides a Rep and ITR-containing plasmid DNA or DNA/cationic substance complex having a high adeno-associated virus (AAV) vector productivity. More specifically, in one exemplary aspect, the present disclosure provides a nucleic acid, etc., the nucleic acid containing a Rep gene derived from an AAV of a first serotype and an inverted terminal repeat (ITR) sequence derived from an AAV of a second serotype different from the first serotype and having a ΔG value ranging from -65 to -95 kcal/mol.

(57) 要約: 本開示は A A V ベクターの生産性が高い、R e p と I T R とを含むプラスミド D N A
または D N A / カチオン性物質複合体を提供する。詳細に述べると、例示的な一態様において、
本開示は、第1の血清型のアデノ随伴ウイルス (A A V) 由来の R e p 遺伝子と、前記第1の血
清型とは異なる第2の血清型の A A V 由来であり、-65 から -95 k c a l / m o l の範囲の
 ΔG 値を有する末端逆位反復 (I T R) 配列とを含む、核酸などを提供する。

WO 2024/172027 A1