

請求の範囲

- [請求項1] 標的RNAをADARにより編集するためのガイドRNAであって、少なくとも1つの機能性領域及び該標的RNAの一部に相補的で標的RNAと二本鎖を形成するアンチセンス領域を含み、少なくとも1つの該機能性領域が該アンチセンス領域に連結されていて、ADARリクルート塩基配列を実質的に含まない、ガイドRNA。
- [請求項2] 少なくとも1つの機能性領域がアンチセンス領域に直接結合されている又はリンカーを介して連結されている、請求項1に記載のガイドRNA。
- [請求項3] アンチセンス領域が、標的RNAとミスマッチ塩基対を形成する塩基を有する、請求項1又は2に記載のガイドRNA。
- [請求項4] 機能性領域が、ガイドRNAの安定化、ガイドRNAの核への局在、ガイドRNAの細胞質への局在、標的RNAとアンチセンス領域の二本鎖形成促進、アンチセンス領域による非特異的な二本鎖形成阻害、及び標的RNAとアンチセンス領域で形成される複合体の安定化からなる機能のいずれか1以上の機能を有する塩基配列からなる領域である、請求項1～3のいずれか1項に記載のガイドRNA。
- [請求項5] 機能性領域が、snRNA配列からなる領域、rRNA配列からなる領域、グアニン四重鎖構造を形成する塩基配列からなる領域、又はステムループ構造を形成する塩基配列からなる領域、或いはそれらのいずれかの組み合わせである、請求項1～4のいずれか1項に記載のガイドRNA。
- [請求項6] 機能性領域が、snRNA配列からなる領域及び任意に含まれるステムループ構造を形成する塩基配列からなる領域である、請求項5に記載のガイドRNA。
- [請求項7] snRNA配列からなる領域が、U6 snRNA配列からなる領域、U1 snRNA配列からなる領域、又はU7 snRNA配列からなる領域である、請求項6に記載のガイドRNA。

- [請求項8] 機能性領域が、rRNA配列からなる領域及び任意に含まれるステムループ構造を形成する塩基配列からなる領域である、請求項5に記載のガイドRNA。
- [請求項9] rRNA配列からなる領域が5' rRNA配列からなる領域である、請求項8に記載のガイドRNA。
- [請求項10] 機能性領域が、グアニン四重鎖構造を形成する塩基配列からなる領域又はステムループ構造を形成する塩基配列からなる領域、或いはそれらの組み合わせである、請求項5に記載のガイドRNA。
- [請求項11] アンチセンス領域、グアニン四重鎖構造を形成する塩基配列からなる機能性領域、任意に含まれるさらなる機能性領域、及び任意に含まれるリンカーからなり、アンチセンス領域、グアニン四重鎖構造を形成する塩基配列からなる機能性領域、及び任意に含まれるさらなる機能性領域がこの順に5'側から3'側に連結されている、請求項1～5のいずれか1項に記載のガイドRNA。
- [請求項12] ステムループ構造を形成する塩基配列からなる機能性領域、アンチセンス領域、任意に含まれるさらなる機能性領域、及び任意に含まれるリンカーからなり、ステムループ構造を形成する塩基配列からなる機能性領域及びアンチセンス領域がこの順に5'側から3'側に連結されている、請求項1～5のいずれか1項に記載のガイドRNA。
- [請求項13] 請求項1～12のいずれか1項に記載のガイドRNA及びADARを含む、標的RNAを編集するシステム。
- [請求項14] 請求項1～12のいずれか1項に記載のガイドRNAをコードする核酸。
- [請求項15] 請求項1～12のいずれか1項に記載のガイドRNAをコードする核酸を含む発現ベクター。
- [請求項16] さらにADARをコードする核酸を含む、請求項15に記載の発現ベクター。
- [請求項17] ADARが、ADAR1又はADAR2である、請求項16に記載

の発現ベクター。

- [請求項18] 請求項15～17のいずれか1項に記載の発現ベクターが導入された宿主細胞。
- [請求項19] 請求項18に記載の宿主細胞を培養する工程を含む、発現ベクターを製造する方法。
- [請求項20] 請求項15～17のいずれか1項に記載の発現ベクター及び薬学的に許容される賦形剤を含む、医薬組成物。
- [請求項21] 請求項15に記載の発現ベクター、ADARをコードする核酸を含む発現ベクター、及び薬学的に許容される賦形剤を含む、医薬組成物。
- [請求項22] 請求項1～12のいずれか1項に記載のガイドRNAをコードする核酸を細胞又はウイルス等に導入する工程を含む、標的RNAを編集する方法。
- [請求項23] 標的RNAをADARにより編集するためのポリヌクレオチドであって、少なくとも1つの機能性領域及び該標的RNAの一部に相補的で標的RNAと二本鎖を形成するアンチセンス領域を含み、少なくとも1つの該機能性領域が該アンチセンス領域に連結されていて、ADARリクルート塩基配列を実質的に含まない、ポリヌクレオチド。