

(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
2021年10月7日(07.10.2021)



(10) 国際公開番号

WO 2021/201198 A1

(51) 国際特許分類:
C12N 15/52 (2006.01) C12N 1/21 (2006.01)
C07K 14/415 (2006.01) C12N 5/10 (2006.01)
C12N 1/15 (2006.01) C12N 15/29 (2006.01)
C12N 1/19 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2021/014096

(22) 国際出願日: 2021年3月31日(31.03.2021)

(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 2020-065065 2020年3月31日(31.03.2020) JP

(71) 出願人: エディットフォース株式会社 (EDITFORCE, INC.) [JP/JP]; 〒8100001 福

岡 県 福 岡 市 中 央 区 天 神 1 - 9 -
1 7 Fukuoka (JP). 国立大学法人東海
国立大学機構 (NATIONAL UNIVERSITY
CORPORATION TOKAI NATIONAL HIGHER
EDUCATION AND RESEARCH SYSTEM) [JP/
JP]; 〒4648601 愛知県名古屋市千種区不老町 1
番 Aichi (JP). 国立大学法人九州大学(KYUSHU
UNIVERSITY, NATIONAL UNIVERSITY COR-
PORATION) [JP/JP]; 〒8190395 福岡県福岡市
西区元岡 7 4 4 Fukuoka (JP).

(72) 発明者: 一瀬 瑞穂 (ICHINOSE Mizuho);
〒4648601 愛知県名古屋市千種区不老町 1 番
国立大学法人東海国立大学機構内 Aichi (JP).
グットマン ベルナルド (GUTMANN Bernard);

(54) Title: METHOD FOR EDITING TARGET RNA

(54) 発明の名称: 標的RNAを編集する方法

(57) Abstract: Provided is a method for converting an editing target C contained in a target RNA into U, or an editing target U therein into C. A method for editing a target RNA, said method comprising applying to the target RNA a synthetic DYW protein that contains a DYW domain comprising one of the following polypeptides a, b, c and bc: a. a polypeptide that has $x_{a1}PGx_{a2}SWIEx_{a3}-x_{a16}HP \dots Hx_{aa}E \dots Cx_{a17}x_{a18}CH \dots$ DYW, has at least 40% sequence identity with the sequence of SEQ ID NO: 1, and has a C-to-U/U-to-C editing activity; b. a polypeptide that has $x_{b1}PGx_{b2}SWWTDx_{b3}-x_{b16}HP \dots Hx_{bb}E \dots Cx_{b17}x_{b18}CH \dots$ DYW, has at least 40% sequence identity with the sequence of SEQ ID NO: 2, and has a C-to-U/U-to-C editing activity; c. a polypeptide that has $KPAx_{c1}Ax_{c2}IEx_{c3} \dots Hx_{cc}E \dots Cx_{c4}x_{c5}CH \dots x_{c6}x_{c7}x_{c8}$, has at least 40% sequence identity with the sequence of SEQ ID NO: 3, and has a C-to-U/U-to-C editing activity; and bc. a polypeptide that has $x_{b1}PGx_{b2}SWWTDx_{b3}-x_{b16}HP \dots Hx_{cc}E \dots Cx_{c4}x_{c5}CH \dots Dx_{bc1}x_{bc2}$, has at least 40% sequence identity with sequence 90 of SEQ ID NO: 2, and has a C-to-U/U-to-C editing activity (in the sequences, x represents an arbitrary amino acid, and ... represents an arbitrary polypeptide fragment).

(57) 要約: 標的RNAに含まれる編集標的CをUに、又は編集標的UをCに変換する方法を提供する。下記a、b、c、及びbcのいずれか一のポリペプチドからなるDYWドメインを含む、人工DYWタンパク質を標的RNAに適用する、標的RNAを編集する方法: a. $x_{a1}PGx_{a2}SWIEx_{a3}-x_{a16}HP \dots Hx_{aa}E \dots Cx_{a17}x_{a18}CH \dots$ DYWを有し、配列番号:1の配列と少なくとも40%の配列同一性を有し、かつC-to-U/U-to-C編集活性を有するポリペプチド、b. $x_{b1}PGx_{b2}SWWTDx_{b3}-x_{b16}HP \dots Hx_{bb}E \dots Cx_{b17}x_{b18}CH \dots$ DYWを有し、配列番号:2の配列と少なくとも40%の配列同一性を有し、かつC-to-U/U-to-C編集活性を有するポリペプチド、c. $KPAx_{c1}Ax_{c2}IEx_{c3} \dots Hx_{cc}E \dots Cx_{c4}x_{c5}CH \dots x_{c6}x_{c7}x_{c8}$ を有し、配列番号:3の配列と少なくとも40%の配列同一性を有し、かつC-to-U/U-to-C編集活性を有するポリペプチド、bc. $x_{b1}PGx_{b2}SWWTDx_{b3}-x_{b16}HP \dots Hx_{cc}E \dots Cx_{c4}x_{c5}CH \dots Dx_{bc1}x_{bc2}$ を有し、配列番号:2の90の配列と少なくとも40%の配列同一性を有し、かつC-to-U/U-to-C編集活性を有するポリペプチド(配列中、xは任意のアミノ酸を表し、…は任意のポリペプチド断片を表す。)

WO 2021/201198 A1

[続葉有]



〒8100001 福岡県福岡市中央区天神一丁目9番17号 エディットフォース株式会社内 Fukuoka (JP). 八木 祐介(YAGI Yusuke); 〒8100001 福岡県福岡市中央区天神一丁目9番17号 エディットフォース株式会社内 Fukuoka (JP). 赤岩 ゆみ(AKAIWA Yumi); 〒8100001 福岡県福岡市中央区天神一丁目9番17号 エディットフォース株式会社内 Fukuoka (JP). 島尻 恭香(SHIMAJIRI Yasuka); 〒8100001 福岡県福岡市中央区天神一丁目9番17号 エディットフォース株式会社内 Fukuoka (JP). 中村 崇裕(NAKAMURA Takahiro); 〒8190395 福岡県福岡市西区元岡744 国立大学法人九州大学内 Fukuoka (JP).

(74) 代理人:特許業務法人特許事務所サイクス(SIKS & CO.); 〒1040031 東京都中央区京橋一丁目8番7号 京橋日殖ビル8階 Tokyo (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, 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))