【書類名】　手続補正書
【整理番号】　PF13046
【提出日】　令和 2年 5月20日
【あて先】　特許庁長官　殿
【事件の表示】
　【審判請求日】　令和 2年 5月20日
　【出願番号】　特願2017- 93750
【補正をする者】
　【識別番号】　513084469
　【氏名又は名称】　モデルナティエックス　インコーポレイテッド
【代理人】
　【識別番号】　100105957
　【弁理士】
　【氏名又は名称】　恩田　誠
【発送番号】　013976
【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】
　　【書類名】特許請求の範囲
　　【請求項１】
　複数の脂質ナノ粒子を含む組成物であって、前記複数の脂質ナノ粒子は、
　（ａ）　修飾ウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシンから選択されるヌクレオシドを含んだヌクレオチドからなる腫瘍学関連タンパク質をコードするオープンリーディングフレームと、
　（ｂ）　コザック配列を含む５’-ＵＴＲと、
　（ｃ）　少なくとも１つの５’キャップ構造と、
　（ｄ）　ｍｉＲ-１２２を発現する細胞における発現を下方制御又は阻害するべく、ｍｉＲ-１２２の少なくとも１つの標的配列を含む３’-ＵＴＲと、
　（ｅ）　結合した複数のヌクレオチドの３’尾部配列と
を含むポリヌクレオチドを封入しており、かつ、前記ポリヌクレオチドによりコードされるタンパク質がより高いレベルで発現するように８５ｎｍ～１５３ｎｍの平均粒径を有する、組成物。
　　【請求項２】
　前記ポリヌクレオチドは、前記３’-ＵＴＲ（非翻訳領域）の前に少なくとも２つの停止コドンを含む、請求項１に記載の組成物。
　　【請求項３】
　哺乳動物の肝細胞に投与されると、前記ポリヌクレオチドは、前記オープンリーディングフレームを有する一方でｍｉＲ-１２２標的部位が除去された対応するポリヌクレオチドと比較して、コードされたポリペプチドの発現を減少させる、請求項１または２に記載の組成物。
　　【請求項４】
　哺乳動物の非肝細胞に投与されると、前記ポリヌクレオチドは、ウラシル、シトシン、アデニンおよびグアニンを含むヌクレオチドからなるオープンリーディングフレームを有する対応するポリヌクレオチドと比較して、より長い半減期、または、より大きなタンパク質発現曲線下面積を有する、請求項１～３のいずれか一項に記載の組成物。
　　【請求項５】
　前記非肝細胞は腫瘍細胞である、請求項４に記載の組成物。
　　【請求項６】

前記オープンリーディングフレームは、１-メチル-シュードウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシン、あるいは、５-メトキシ-ウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシンから選択されるヌクレオシドを含んだヌクレオチドからなる、請求項１～５のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項７】

前記複数の脂質ナノ粒子は、カチオン性脂質、ＰＥＧ化脂質、コレステロール、およびリン脂質を含む、請求項１～６のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項８】

前記カチオン性脂質は、ＤＬｉｎ-ＤＭＡ、ＤＬｉｎ-Ｋ-ＤＭＡ、ＤＬｉｎ-ＫＣ２-ＤＭＡ、９８Ｎ１２-５、Ｃ１２-２００、ＤＬｉｎ-ＭＣ３-ＤＭＡ、ＤＯＤＭＡ、ＤＳＤＭＡ、またはＤＬｅｎＤＭＡ、またはそれらの誘導体である、請求項７に記載の組成物。

【請求項９】

前記複数の脂質ナノ粒子は、０．０２～０．２の平均ＰＤＩと、１０～２０の平均脂質：ポリヌクレオチド比（重量／重量）とを有する、請求項１～８のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項１０】

前記結合した複数のヌクレオチドの３’尾部配列は、約１５０～１６５個のヌクレオチドのポリＡ尾部およびポリＡ～Ｇ四重項のうちから選択される、請求項１～９のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項１１】

前記少なくとも１つの５’キャップ構造は、キャップ０、キャップ１、ＡＲＣＡ、イノシン、Ｎ１-メチル-グアノシン、２’フルオロ-グアノシン、７-デアザ-グアノシン、８-オキソ-グアノシン、２-アミノ-グアノシン、ＬＮＡ-グアノシン、および２-アジド-グアノシンのうちから選択される、請求項１～１０のいずれか一項に記載の組成物。