

WO 2015/169314 A1

(12) NACH DEM VERTRAG ÜBER DIE INTERNATIONALE ZUSAMMENARBEIT AUF DEM GEBIET DES
PATENTWESENS (PCT) VERÖFFENTLICHTE INTERNATIONALE ANMELDUNG

(19) Weltorganisation für geistiges
Eigentum
Internationales Büro

(43) Internationales
Veröffentlichungsdatum
12. November 2015 (12.11.2015)



(10) Internationale Veröffentlichungsnummer
WO 2015/169314 A1

- (51) Internationale Patentklassifikation:
C12N 9/22 (2006.01) C12N 15/90 (2006.01)
- (21) Internationales Aktenzeichen: PCT/DE2015/200295
- (22) Internationales Anmeldedatum:
4. Mai 2015 (04.05.2015)
- (25) Einreichungssprache: Deutsch
- (26) Veröffentlichungssprache: Deutsch
- (30) Angaben zur Priorität:
10 2014 106 327.9 7. Mai 2014 (07.05.2014) DE
- (71) Anmelder: UNIVERSITÄTSKLINIKUM HAMBURG-EPPENDORF (UKE) [DE/DE]; Martinistrasse 52, 20246 Hamburg (DE).
- (72) Erfinder: MOCK, Ulrike; 10 Stadium Mews, London N5 1FP (GB). FEHSE, Boris; Hagenbeckstraße 171a, 22527 Hamburg (DE).
- (74) Anwälte: STÜVEN, Ralf et al.; Kirchenhang 32 b, 21073 Hamburg (DE).
- (81) Bestimmungsstaaten (soweit nicht anders angegeben, für jede verfügbare nationale Schutzrechtsart): 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, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, JP, KE, KG, KN, KP, KR, 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, SM, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, ZA, ZM, ZW.

(84) Bestimmungsstaaten (soweit nicht anders angegeben, für jede verfügbare regionale Schutzrechtsart): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), eurasisches (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), europäisches (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).

Veröffentlicht:
— mit internationalem Recherchenbericht (Artikel 21 Absatz 3)

[Fortsetzung auf der nächsten Seite]

(54) Title: TAL-EFFECTOR NUCLEASE FOR TARGETED KNOCKOUT OF THE HIV CO-RECEPTOR CCR5
(54) Bezeichnung : TAL-EFFEKTORNUKLEASE ZUM GEZIELTEN KNOCKOUT DES HIV-KOREZEPTORS CCR5

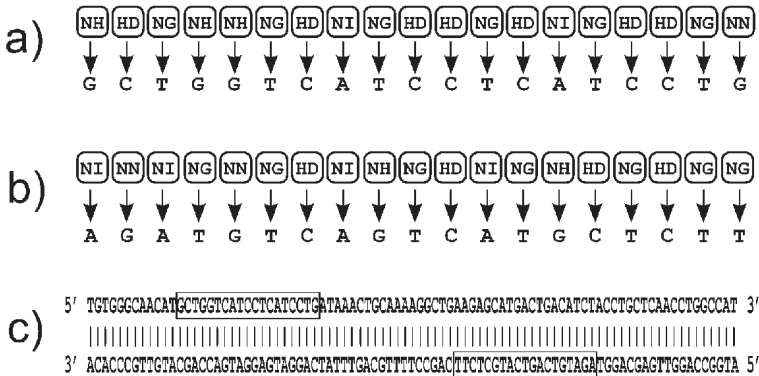


Fig. 1

(57) Abstract: The invention relates to a novel TAL effector nuclease (TALEN) for targeted knockout of the HIV co-receptor CCR5. One aspect of the invention therefore provides a TAL effector nuclease pair comprising a first and a second TAL effector nuclease monomer, wherein each TAL effector nuclease monomer comprises an endonuclease domain having type II endonuclease activity and a TAL effector DNA binding domain having a plurality of repeat units, each comprising a variable amino acid pair RVD, and wherein a) the TAL effector DNA binding domain of the first TAL effector nuclease monomer binds to the target sequence GCTGGTCATCCTCATCCTG (SEQ ID NO: 1) and/or comprises the RVD sequence NH HD NG NH NH NG HD NI NG HD HD NG HD NI NG HD HD NG NN, and b) the TAL effector DNA binding domain of the second TAL effector nuclease monomer binds to the target sequence AGATGTCAAGTCATGCTCTT (SEQ ID NO: 2) and/or comprises the RVD sequence NI NN NI NG NN NG HD NI NH NG HD NI NG NH HD NG HD NG NG.

(57) Zusammenfassung:

[Fortsetzung auf der nächsten Seite]

— vor Ablauf der für Änderungen der Ansprüche geltenden Frist; Veröffentlichung wird wiederholt, falls Änderungen eingehen (Regel 48 Absatz 2 Buchstabe h)

— mit dem Sequenzprotokollteil der Beschreibung (Regel 5 Absatz 2 Buchstabe a)

Die Erfindung betrifft eine neue TAL-Effektornuklease (TALEN) zum gezielten Knockout des HIV-Korezeptors CCR5. In einem Aspekt stellt die Erfindung daher ein TAL-Effektornuklease-Paar bereit, umfassend ein erstes und ein zweites TAL-Effektornuklease-Monomer, wobei jedes TAL-Effektornuklease-Monomer eine Endonukleasedomäne mit Typ-II-Endonukleaseaktivität und eine TAL-Effektor-DNA-Bindungsdomäne mit einer Mehrzahl von Wiederholungseinheiten, die jeweils ein variables Aminosäurepaar RVD aufweisen, umfasst, und wobei a) die TAL-Effektor-DNA-Bindungsdomäne des ersten TAL-Effektornuklease-Monomers an die Zielsequenz GCTGGTCATCCTCATCCTG (SEQ ID NO: 1) bindet und/oder die RVD-Sequenz NH HD NG NH NH NG HD NI NG HD HD NG HD NI NG HD HD NG NN umfasst, und b) die TAL-Effektor-DNA-Bindungsdomäne des zweiten TAL-Effektornuklease-Monomers an die Zielsequenz AGATGTCAGTCATGCTCTT (SEQ ID NO: 2) bindet und/oder die RVD-Sequenz NI NN NI NG NN NG HD NI NH NG HD NI NG NH HD NG HD NG NG umfasst.

ADVANCE E-MAIL

From the INTERNATIONAL BUREAU

PCTNOTIFICATION OF THE RECORDING
OF A CHANGE(PCT Rule 92bis.1 and
Administrative Instructions, Section 422)

To:

STÜVEN, Ralf
Kirchenhang 32 b
21073 Hamburg
ALLEMAGNE

Date of mailing (day/month/year) 01 November 2016 (01.11.2016)	IMPORTANT NOTIFICATION
Applicant's or agent's file reference PAT 1473 PCT	
International application No. PCT/DE2015/200295	International filing date (day/month/year) 04 May 2015 (04.05.2015)

1. The following indications appeared on record concerning:		
☒ the applicant	☐ the inventor	☐ the agent
☐ the common representative		
Name and Address UNIVERSITÄTSKLINIKUM HAMBURG-EPPENDORF (UKE) Martinistrasse 52 20246 Hamburg Germany	State of Nationality DE	State of Residence DE
	Telephone No. +49 40 7410-0	
	Facsimile No.	
	E-mail address info@uke.de	
2. The International Bureau hereby notifies the applicant that the following change has been recorded concerning:		
☒ the person	☐ the name	☐ the address
☐ the nationality		
☐ the residence		
Name and Address ADVANCED GENE & CELL TECHNOLOGIES LLC (AGCT LLC) 194291 Lunacharskogo str. 35-51 Saint-Petersburg Russian Federation	State of Nationality RU	State of Residence RU
	Telephone No. +79117113977	
	Facsimile No.	
	E-mail address agct.spb@gmail.com ☒ Notifications by e-mail authorized	
3. Further observations, if necessary:		
4. A copy of this notification has been sent to:		
☒ the receiving Office	☐ the International Preliminary Examining Authority	
☒ the International Searching Authority	☒ the designated Offices concerned	
☐ the Authority(ies) specified for supplementary search	☐ the elected Offices concerned	
	☐ other:	

The International Bureau of WIPO 34, chemin des Colombettes 1211 Geneva 20, Switzerland	Authorized officer Schraner Franziska e-mail pt05.pct@wipo.int Telephone No. +41 22 338 74 05
Facsimile No. +41 22 338 89 75	