

【公報種別】特許法第17条の2の規定による補正の掲載

【部門区分】第1部門第1区分

【発行日】平成18年3月30日(2006.3.30)

【公表番号】特表2005-517452(P2005-517452A)

【公表日】平成17年6月16日(2005.6.16)

【年通号数】公開・登録公報2005-023

【出願番号】特願2003-569860(P2003-569860)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 1/04 (2006.01)

A 6 1 P 3/10 (2006.01)

A 6 1 P 7/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/00 (2006.01)

A 6 1 P 17/06 (2006.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 29/00 (2006.01)

A 6 1 P 31/12 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

A 6 1 P 37/02 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A A

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 1/04

A 6 1 P 3/10

A 6 1 P 7/00

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 17/06

A 6 1 P 21/04

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 29/00

A 6 1 P 29/00 1 0 1

A 6 1 P 31/12

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 35/02

A 6 1 P 37/02

【手続補正書】

【提出日】平成18年2月8日(2006.2.8)

【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】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

センス領域およびアンチセンス領域を含み，RNA干渉(RNAi)によりヒトBCCL2

R N A の切断を指示する化学的に合成された二本鎖短干渉核酸 (s i R N A) 分子であって、

a . 前記 s i R N A 分子の各領域は 1 8 - 2 7 ヌクレオチドの長さであり；

b . 前記 s i R N A 分子のアンチセンス領域は前記 B C L 2 R N A のヌクレオチド配列に相補的なヌクレオチド配列を含み；センス領域はアンチセンス領域に相補的であり；かつ

c . 前記 s i R N A 分子は、前記 s i R N A 分子のセンス領域およびアンチセンス領域中に少なくとも 1 つの化学的に修飾されたヌクレオチドを含む、ことを特徴とする s i R N A 分子。

【請求項 2】

前記 s i R N A 分子がリボヌクレオチドを含まない、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 3】

前記 s i R N A 分子が 1 またはそれ以上のリボヌクレオチドを含む、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 4】

前記化学的に修飾されたヌクレオチドが 2' - デオキシヌクレオチドを含む、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 5】

前記化学的に修飾されたヌクレオチドが 2' - デオキシ - 2' - フルオロヌクレオチドを含む、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 6】

前記化学的に修飾されたヌクレオチドが 2' - O - メチルヌクレオチドを含む、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 7】

前記化学的に修飾されたヌクレオチドがホスホロチオエートヌクレオチド間結合を含む、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 8】

前記化学的に修飾されたヌクレオチドが無塩基成分を含む、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 9】

前記無塩基成分が反転デオキシ無塩基成分を含む、請求項 8 記載の s i R N A 分子。

【請求項 10】

前記センス領域がリンカー分子を介してアンチセンス領域と連結されている、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 11】

前記リンカー分子がポリヌクレオチドリンカーである、請求項 10 記載の s i R N A 分子。

【請求項 12】

前記リンカー分子が非ヌクレオチドリンカーである、請求項 10 記載の s i R N A 分子。

【請求項 13】

センス領域中に存在する 1 またはそれ以上のピリミジンヌクレオチドが 2' - O - メチルピリミジンヌクレオチドである、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 14】

センス領域中に存在する 1 またはそれ以上のプリンヌクレオチドが 2' - デオキシプリンヌクレオチドである、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 15】

センス領域中に存在する 1 またはそれ以上のピリミジンヌクレオチドが 2' - デオキシ - 2' - フルオロピリミジンヌクレオチドである、請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 16】

センス領域がセンス領域の 5' 末端、3' 末端、または 5' 末端および 3' 末端の両方に

末端キャップ成分を含む，請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 17】

前記末端キャップ成分が反転デオキシ無塩基成分である，請求項 16 記載の s i R N A 分子。

【請求項 18】

前記アンチセンス領域の 1 またはそれ以上のピリミジンヌクレオチドが 2' - デオキシ - 2' - フルオロピリミジンヌクレオチドである，請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 19】

前記アンチセンス領域の 1 またはそれ以上のプリンヌクレオチドが 2' - O - メチルプリンヌクレオチドである，請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 20】

前記アンチセンス領域の 1 またはそれ以上のプリンヌクレオチドが 2' - デオキシ - プリンヌクレオチドを含む，請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 21】

前記アンチセンス領域が前記アンチセンス領域の 3' 末端に末端ホスホロチオエートヌクレオチド間結合を含む，請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 22】

アンチセンス領域の 5' 末端が末端リン酸基を含む，請求項 1 記載の s i R N A 分子。

【請求項 23】

薬学的に許容しうる担体または希釈剤中に請求項 1 記載の s i R N A 分子を含む組成物。