

【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】令和4年1月6日(2022.1.6)

【公表番号】特表2021-505129(P2021-505129A)

【公表日】令和3年2月18日(2021.2.18)

【年通号数】公開・登録公報2021-008

【出願番号】特願2020-529238(P2020-529238)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

A 6 1 P 25/28 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/08 (2006.01)

A 6 1 P 25/20 (2006.01)

A 6 1 P 25/18 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z N A Z

C 1 2 N 15/113 1 3 0 Z

A 6 1 P 25/28

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 25/08

A 6 1 P 25/20

A 6 1 P 25/18

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

【手続補正書】

【提出日】令和3年11月29日(2021.11.29)

【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】

アンチセンスオリゴヌクレオチド、ならびに薬学的に許容される希釈剤、溶媒、担体、塩および/または賦形剤を含む、

前記オリゴヌクレオチドが、配列番号2、配列番号1、配列番号3、配列番号4、または配列番号5の核酸配列の連続した部分に少なくとも98%の相補性を有する10~30個のヌクレオチド長の連続したヌクレオチド配列を含む、薬学的組成物。

【請求項2】

前記オリゴヌクレオチドが、配列番号6、7、8、9、10、または11からなる群から選択される配列を含む、請求項1に記載の薬学的組成物。

【請求項3】

1つ以上の修飾されたヌクレオシドを含む、請求項1または2に記載の薬学的組成物。

【請求項 4】

前記 1 つ以上の修飾されたヌクレオシドが、2' 糖修飾されたヌクレオシドである、請求項 3 に記載の薬学的組成物。

【請求項 5】

前記 1 つ以上の 2' 糖修飾されたヌクレオシドが、2' - O - アルキル - RNA、2' - O - メチル - RNA、2' - アルコキシ - RNA、2' - O - メトキシエチル - RNA、2' - アミノ - DNA、2' - フルオロ - DNA、アラビノ核酸 (ANA)、2' - フルオロ - ANA、および LNA ヌクレオシドからなる群から独立して選択される、請求項 4 に記載の薬学的組成物。

【請求項 6】

前記 1 つ以上の修飾されたヌクレオシドが、LNA ヌクレオシドである、請求項 5 に記載の薬学的組成物。

【請求項 7】

前記薬学的組成物が、少なくとも 1 つの修飾されたヌクレオシド間結合を含む、請求項 1 に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項 8】

前記連続したヌクレオチド配列内の前記ヌクレオシド間結合が、ホスホロチオエートヌクレオシド間結合である、請求項 7 に記載の薬学的組成物。

【請求項 9】

前記オリゴヌクレオチドが、RNアーゼHをリクルートすることができる、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 10】

前記オリゴヌクレオチドが、ギャップマーである、請求項 9 に記載の薬学的組成物。

【請求項 11】

前記オリゴヌクレオチドが、配列番号 362 ~ 392 からなる群から選択される核酸配列を有する、請求項 10 に記載の薬学的組成物。

【請求項 12】

前記アンチセンスオリゴヌクレオチドが、配列番号 67 ~ 115 からなる群から選択される核酸配列を含む、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 13】

前記アンチセンスオリゴヌクレオチドが、配列番号 89 の核酸配列を含む、請求項 12 に記載の薬学的組成物。

【請求項 14】

前記アンチセンスオリゴヌクレオチドが、配列番号 365、371、372、373、374、375、376、377、378、379、380、381、382、および 383 からなる群から選択される、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 15】

前記アンチセンスオリゴヌクレオチドが、配列番号 18 ~ 66 からなる群から選択される核酸配列に対して相補的である、請求項 1 に記載の薬学的組成物。

【請求項 16】

前記アンチセンスオリゴヌクレオチドが、配列番号 40 の核酸配列に対して相補的である、請求項 15 に記載の薬学的組成物。