

【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3部門第2区分
 【発行日】令和1年6月27日(2019.6.27)

【公表番号】特表2018-520150(P2018-520150A)
 【公表日】平成30年7月26日(2018.7.26)
 【年通号数】公開・登録公報2018-028
 【出願番号】特願2017-567701(P2017-567701)
 【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)
 A 6 1 K 31/7088 (2006.01)
 A 6 1 K 31/713 (2006.01)
 A 6 1 K 31/7105 (2006.01)
 A 6 1 K 31/7115 (2006.01)
 A 6 1 K 31/712 (2006.01)
 A 6 1 K 31/7125 (2006.01)
 A 6 1 P 11/00 (2006.01)
 A 6 1 P 43/00 (2006.01)
 A 6 1 K 35/761 (2015.01)
 C 1 2 N 15/113 (2010.01)

【 F I 】

A 6 1 K 45/00
 A 6 1 K 31/7088
 A 6 1 K 31/713
 A 6 1 K 31/7105
 A 6 1 K 31/7115
 A 6 1 K 31/712
 A 6 1 K 31/7125
 A 6 1 P 11/00
 A 6 1 P 43/00 1 0 5
 A 6 1 K 35/761
 C 1 2 N 15/113 Z N A Z

【手続補正書】

【提出日】令和1年5月27日(2019.5.27)

【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】

核酸miR-9インヒビターを含む、嚢胞性線維症を処置するための医薬組成物。

【請求項2】

核酸miR-9インヒビターが、miR-9に結合する、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項3】

核酸miR-9インヒビターが、miR-9に結合して隔離させ、そのターゲットであるANO1 mRNA配列にそれが結合することを妨げる、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項4】

核酸miR-9インヒビターが、miR-9の相補的、すなわち、アンチセンス配列と

少なくとも70%配列の同一性を有する核酸配列を含む、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項5】

核酸miR-9インヒビターが、miR-9アンタゴミルである、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項6】

核酸miR-9インヒビターが、miR-9マイクロRNA-スポンジである、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項7】

核酸miR-9インヒビターが、miR-9に対してターゲティングされる低分子干渉RNA(sRNA)である、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項8】

核酸miR-9インヒビターが、miR-9に直接結合しないが、代わりにANO1核酸配列のmiR-9mRNAターゲット部位に結合する、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項9】

miR-9mRNAターゲット部位が、ANO1 3'UTRに局在する、請求項8記載の医薬組成物。

【請求項10】

核酸miR-9インヒビターが、ターゲット部位ブロッカー(TSB)である、請求項8記載の医薬組成物。

【請求項11】

核酸が、配列番号3の核酸配列を含む、請求項10記載の医薬組成物。

【請求項12】

核酸miR-9インヒビターが、LNAヌクレオチド、又はモルホリノヌクレオチド、又は2'-O-メチルで修飾されたヌクレオチド、又は2'-O-メトキシエチルで修飾されたヌクレオチド、又は2'-フルオロで修飾されたヌクレオチドを含む、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項13】

核酸miR-9インヒビターが、ウイルスベクターを用いて送達される、請求項1記載の医薬組成物。

【請求項14】

ベクターが、AAVベクターである、請求項13記載の医薬組成物。

【請求項15】

核酸miR-9インヒビターを、被検者に、核酸miR-9インヒビターが肺に到達することを可能とする任意の好適な方法を用いて投与するための、請求項1記載の医薬組成物。