

【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31年3月28日(2019.3.28)

【公表番号】特表2018-512140(P2018-512140A)

【公表日】平成30年5月17日(2018.5.17)

【年通号数】公開・登録公報2018-018

【出願番号】特願2017-551098(P2017-551098)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/675 (2006.01)

A 6 1 P 1/16 (2006.01)

A 6 1 P 31/20 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/06 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

C 0 7 F 9/6524 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A G

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/675

A 6 1 P 1/16

A 6 1 P 31/20

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 3/06

A 6 1 P 43/00 1 0 5

C 0 7 F 9/6524

【手続補正書】

【提出日】平成31年2月15日(2019.2.15)

【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】

第1鎖および第2鎖を含むUNAオリゴマーであって、各々の鎖は19～29モノマー長であり、該モノマーはUNAモノマーおよび核酸モノマーを含み、ここに該オリゴマーは14～29モノマー長の二本鎖構造を有し、ここに該第2鎖はRNA干渉用のガイド鎖であって該第1鎖はRNA干渉用のパッセンジャー鎖であり、およびここにUNAオリゴマーはターゲット遺伝子の発現を低下させる、UNAオリゴマー。

【請求項2】

各々の鎖に1またはそれを超える核酸モノマーの1またはそれを超える化学修飾を含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項3】

オリゴマーが2'-O-メチル基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチドを含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項4】

オリゴマーが2'-0-メチル基で修飾された1~9のヌクレオチドを含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項5】

オリゴマーが2'-デオキシ-2'-フルオロ基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチドを含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項6】

いずれかの鎖における1またはそれを超えるモノマー間結合がホスホロチオエートまたはキラルホスホロチオエート結合である、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項7】

オリゴマーが2'-0-メチル基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチドおよび2'-デオキシ-2'-フルオロ基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチドを含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項8】

オリゴマーが、いずれかの鎖に2'-0-メチル基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチド、2'-デオキシ-2'-フルオロ基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチド、および1またはそれを超えるホスホロチオエートまたはキラルホスホロチオエートモノマー間結合を含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項9】

オリゴマーが、いずれかの鎖に3またはそれを超えるUNAモノマー、2'-0-メチル基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチド、2'-デオキシ-2'-フルオロ基で修飾された1またはそれを超えるヌクレオチド、および1またはそれを超えるホスホロチオエートまたはキラルホスホロチオエートモノマー間結合を含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項10】

ターゲット遺伝子がB型肝炎ウイルス、TTR、APOB、PCSK9、またはAPOC3のウイルス遺伝子である、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項11】

配列番号：87である第1鎖および配列番号：88である第2鎖を含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項12】

配列番号：105である第1鎖および配列番号：106である第2鎖を含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項13】

配列番号：239である第1鎖および配列番号：240である第2鎖を含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項14】

配列番号：263である第1鎖および配列番号：264である第2鎖を含む、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項15】

UNAオリゴマーがイン・ビトロ (in vitro) において長時間持続する活性を有する、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項16】

UNAオリゴマーがイン・ビボ (in vivo) において長時間持続する効能を有する、請求項1に記載のUNAオリゴマー。

【請求項17】

請求項1~16のいずれかに記載の1またはそれを超えるUNAオリゴマーおよび医薬上許容し得る不活性成分、希釈剤または補助剤を含む医薬組成物。

【請求項18】

ターゲット遺伝子の発現を調節するための請求項1~16のいずれかに記載の1またはそれを超えるUNAオリゴマーの使用。

【請求項 19】

必要とする対象において、B型肝炎感染症、アミロイド神経障害、アミロイドーシス、トランスサイレチンに関連するアミロイドーシス、高コレステロール血症、コレステロール障害、高トリグリセリド血症、またはリポタンパク質障害を予防または治療することにおける、請求項17記載の組成物の使用。

【請求項 20】

治療ターゲット用の薬物の調製における、請求項17記載の組成物の使用。

【請求項 21】

細胞中のターゲットmRNAの発現レベルを低下させる薬物を調製することにおける、請求項1～16のいずれかに記載の1またはそれを超えるUNAオリゴマーの使用。