

【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】平成24年5月10日(2012.5.10)

【公表番号】特表2011-515407(P2011-515407A)

【公表日】平成23年5月19日(2011.5.19)

【年通号数】公開・登録公報2011-020

【出願番号】特願2011-500898(P2011-500898)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 45/06 (2006.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2006.01)

A 6 1 K 47/24 (2006.01)

A 6 1 K 47/28 (2006.01)

A 6 1 P 7/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 21/02 (2006.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

C 1 2 Q 1/68 (2006.01)

C 1 2 Q 1/02 (2006.01)

G 0 1 N 33/53 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 45/06

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 47/24

A 6 1 K 47/28

A 6 1 P 7/00

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 21/02

A 6 1 P 21/04

C 1 2 Q 1/68 Z N A A

C 1 2 Q 1/02

G 0 1 N 33/53 M

C 1 2 N 15/00 A

【手続補正書】

【提出日】平成24年3月12日(2012.3.12)

【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】

miR - 206 および / または miR - 1 のアゴニストを含む、除神経性神経障害状態の治療用組成物。

【請求項 2】

前記アゴニストが、miR - 206 および / または miR - 1 の成熟配列を含むポリヌクレオチドである、請求項 1 に記載の治療用組成物。

【請求項 3】

前記アゴニストが、配列番号：2 および / または配列番号：4 からなる群から選択される配列を含むポリヌクレオチドである、請求項 2 に記載の治療用組成物。

【請求項 4】

前記アゴニストが、脂質送達ビヒクル中に製剤化される、請求項 2 に記載の治療用組成物。

【請求項 5】

前記アゴニストが、発現ベクターによりコードされる、請求項 2 に記載の治療用組成物。

【請求項 6】

前記アゴニストが、筋特異的プロモーターの制御下にある、請求項 5 に記載の治療用組成物。

【請求項 7】

前記除神経性神経障害状態が、脊髄損傷、重症筋無力症、筋萎縮性側索硬化症、フリードライヒ失調症、脊髄性筋萎縮症、または脊髄小脳失調である、請求項 1 に記載の治療用組成物。

【請求項 8】

前記除神経性神経障害状態に対する第 2 の治療薬と併用投与される、請求項 1 に記載の治療用組成物。

【請求項 9】

前記第 2 の治療薬が、Riluzole、コリンエステラーゼ阻害剤、および免疫抑制剤からなる群から選択される、請求項 8 に記載の治療用組成物。

【請求項 10】

経口、経皮、もしくは経静脈、または骨格筋組織内への直接的な注射により投与される、請求項 1 に記載の治療用組成物。

【請求項 11】

対象における除神経性神経障害状態を診断する方法であって、  
(a) 骨格筋組織試料における miR - 206 および / または miR - 133b の活性または発現を評価する工程と、  
(b) 工程 (a) における活性または発現を、正常な組織試料における miR - 206 および / または miR - 133b の活性または発現と比較する工程とを含み、正常な組織試料における miR - 206 および / または miR - 133b の活性または発現と比較した miR - 206 および / または miR - 133b の活性または発現の上昇により、除神経性神経障害状態が診断される方法。

【請求項 12】

前記除神経性神経障害状態が、脊髄損傷、重症筋無力症、筋萎縮性側索硬化症、フリードライヒ失調症、脊髄性筋萎縮症、または脊髄小脳失調である、請求項 11 に記載の方法。

【請求項 13】

miR - 206 および / または miR - 133b の活性を評価する工程が、miR - 206 および / または miR - 133b により調節される 1 つまたは複数の遺伝子の活性を評価する工程を含む、請求項 11 に記載の方法。

【請求項 14】

miR - 206 により調節される 1 つまたは複数の遺伝子が、HDAC4、Dach2、またはミオゲニンである、請求項 13 に記載の方法。

## 【請求項 15】

骨格筋における mi R - 206 および / または mi R - 1 活性の調節物質を同定する方法であって、

( a ) 骨格筋細胞を候補化合物と i n v i t r o で接触させる工程と、

( b ) mi R - 206 および / または mi R - 1 の活性または発現を評価する工程と、

( c ) 工程 ( b ) における活性または発現を、前記候補化合物の非存在下における活性または発現と比較する工程とを含み、

前記測定された活性または発現間の差違により、前記候補化合物が mi R - 206 および / または mi R - 1 の調節物質であることが示される方法。

## 【請求項 16】

前記候補化合物が、ペプチド、ポリペプチド、ポリヌクレオチド、または低分子化合物である、請求項 15 に記載の方法。

## 【請求項 17】

mi R - 206 および / または mi R - 1 のアゴニストと薬学的に許容される担体とを含む医薬組成物。