

【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 2 年 9 月 24 日 (2020.9.24)

【公表番号】特表 2019-524160 (P2019-524160A)

【公表日】令和 1 年 9 月 5 日 (2019.9.5)

【年通号数】公開・登録公報 2019-036

【出願番号】特願 2019-529315 (P2019-529315)

【国際特許分類】

C 1 2 Q 1/02 (2006.01)

A 6 1 K 31/4375 (2006.01)

A 6 1 P 25/14 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 21/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

C 1 2 Q 1/02 Z N A

A 6 1 K 31/4375

A 6 1 P 25/14

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 21/00

C 1 2 N 15/09 Z

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 8 月 12 日 (2020.8.12)

【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】

細胞中のリピート DNA 配列の伸長を阻害するための医薬組成物であって、ナフチリジン - アザキノロン (NA)を含む、医薬組成物。

【請求項 2】

前記医薬組成物がインビボで細胞と接触させられる、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

前記接触させる工程が複数回実施される、請求項 1 または 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

接触させる工程の前に、リピート DNA 配列中のリピート数を決定する工程が実施される、請求項 1 から 3 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

接触させる工程の後に、リピート DNA 配列中のリピート数を決定する工程が実施される、請求項 1 から 4 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

細胞が、リピート DNA 配列中のリピート数に応じた量の NA と接触させられる、請求項 1 から 5 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

NA が修飾された NA である、請求項 1 から 6 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

個体のゲノム中のリピートDNA配列中のリピート数を低減するための医薬組成物であって、ナフチリジン - アザキノロン (NA) を含む、医薬組成物。

【請求項 9】

NA が、罹患組織に直接投与される、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

NA が全身に投与される、請求項 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

前記投与する工程が注射により行われる、請求項 8、9 または 10 に記載の医薬組成物。

【請求項 12】

NA が複数回投与される、請求項 8 から 11 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 13】

複数用量の NA が投与される、請求項 8 から 12 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 14】

投与する工程が複数回繰り返される、請求項 8 から 13 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 15】

治療量の NA がリピート数に基づく、請求項 8 から 14 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 16】

治療量の NA が約 0.01 μ M から約 1 M である、請求項 8 から 15 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 17】

リピート DNA 配列を有する個体が識別される、請求項 8 から 16 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 18】

個体からの 1 以上の細胞中のリピート数が決定される、請求項 8 から 17 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 19】

個体からの 1 以上の細胞中のリピート数がモニタリングされる、請求項 8 から 18 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 20】

NA がそのインビボ安定性を増進するように修飾される、請求項 8 から 19 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 21】

NA がリボソーム又は頭蓋内ポンプを通じて送達される、請求項 8 から 20 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 22】

リピート DNA 配列の伸長によって引き起こされる個体中の疾患を治療または予防するための医薬組成物であって、ナフチリジン - アザキノロン (NA) を含む、医薬組成物。

【請求項 23】

リピート DNA 不安定性によって引き起こされる疾患を有する個体が識別される、請求項 22 に記載の医薬組成物。

【請求項 24】

リピート DNA 配列の伸長によって引き起こされる疾患が、ハンチントン病 (HD)、ハンチントン類縁疾患 2 型 (HDL2)、筋緊張性ジストロフィー (DM1)、脊髄小脳失調症 1 型 (SCA1)、SCA2、SCA3、SCA6、SCA7、SCA8、SCA12、SCA17、球脊髄性筋萎縮症 (SBMA)、歯状核赤核淡蒼球ルイ体萎縮症 (DRPLA)、フック角膜内皮ジストロフィー 2 (FEC D2)、統合失調症、双極性障害 (KCNN3)、乳がんリスク因子 A1B1 からなる群から選択される、請求項 22 また

は 2 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 2 5】

N A がリピート D N A 配列の伸長の前に投与される、請求項 2 2 から 2 4 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 2 6】

投与する工程がリピート D N A 配列の伸長の前に起こる、請求項 2 2 から 2 4 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 2 7】

N A が誕生前に（子宮内で）個体に投与される、請求項 2 2 から 2 6 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 2 8】

N A がリピート D N A 配列の伸長に続いて個体に投与される、請求項 2 2 から 2 4 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。