

【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0.01μMから約1M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がそのインビオ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(FECD2)、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DNA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DNA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DNA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。