

【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 3 年 3 月 4 日 (2021.3.4)

【公開番号】特開 2020-72724 (P2020-72724A)

【公開日】令和 2 年 5 月 14 日 (2020.5.14)

【年通号数】公開・登録公報 2020-019

【出願番号】特願 2020-3338 (P2020-3338)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 31/7125 (2006.01)

A 6 1 K 31/712 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

【 F I 】

C 1 2 N 15/113 Z N A Z

A 6 1 P 21/04

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/7125

A 6 1 K 31/712

A 6 1 K 48/00

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 1 月 21 日 (2021.1.21)

【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】

ヒトジストロフィン遺伝子の第 53 番目のエクソンの 5' 末端から第 36 ~ 53 番目のヌクレオチドからなる配列に相補的な塩基配列を有し、かつ 18 ~ 28 塩基の長さであり、前記エクソンのスキッピングを可能にするモルホリノオリゴマーと、

カチオン性担体と、
を含む医薬組成物。

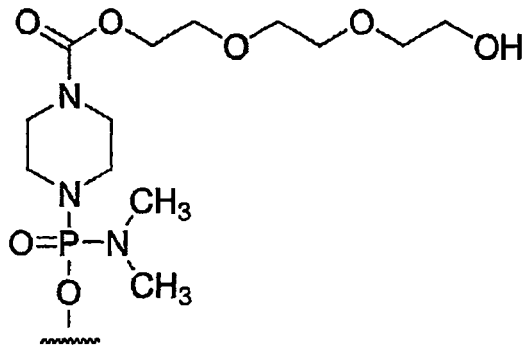
【請求項 2】

前記カチオン性担体はカチオン性ポリマーである、請求項 1 に記載の医薬組成物。

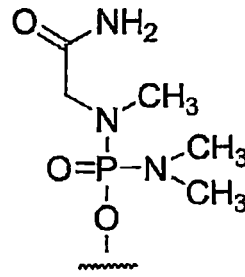
【請求項 3】

前記モルホリノオリゴマーの 5' 末端が、下記化学式 (1) ~ (3) :

【化 1】



(1)



(2)



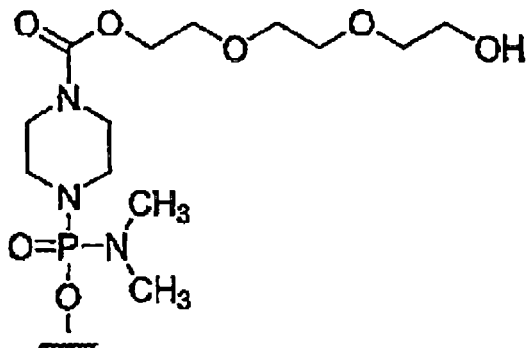
(3)

のいずれかの基である、請求項 1 又は 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

前記モルホリノオリゴマーの 5' 末端が、式 (1)

【化 2】



(1)

で示す基である、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

前記モルホリノオリゴマーはホスホロジアミデートモルホリノオリゴマーである、請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

筋ジストロフィーを治療するための、請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物

。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0130

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0130】

RT-PCR に使用したフォワードプライマーとリバースプライマーの塩基配列は以下の通りである。

フォワードプライマー：5' -CATCAAGCAGAAGGCAACAA-3' (配列番号 42)

リバースプライマー：5' -GAAGTTTCAGGCCAAGTCA-3' (配列番号 43)

【手続補正 3】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 3 2

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 1 3 2】

上記nested PCRに使用したフォワードプライマーとリバースプライマーの塩基配列は以下の通りである。

フォワードプライマー：5' -AGGATTTGGAACAGAGGCGTC-3' (配列番号40)

リバースプライマー：5' -GTCTGCCACTGGCGGAGGTC-3' (配列番号41)