

【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 12 N 15/113 (2010.01)

A 61 P 21/04 (2006.01)

A 61 K 31/7105 (2006.01)

A 61 K 31/7125 (2006.01)

A 61 K 31/712 (2006.01)

A 61 K 48/00 (2006.01)

【F I】

C 12 N 15/113 Z N A Z

A 61 P 21/04

A 61 K 31/7105

A 61 K 31/7125

A 61 K 31/712

A 61 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。

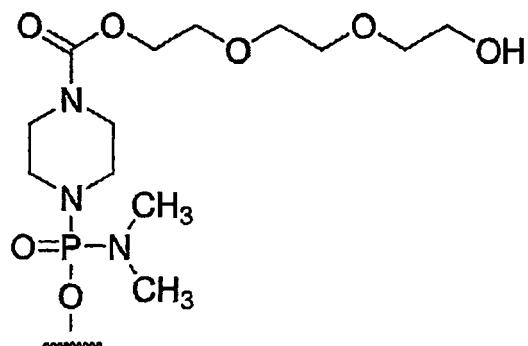
【請求項2】

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。

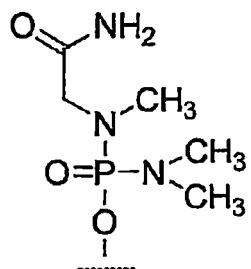
【請求項3】

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)



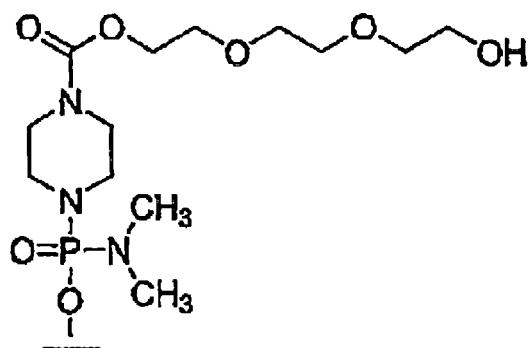
(3)

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' -GAAGTTTCAGGGCCAAGTCA-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' -AGGATTGGAACAGAGGCGTC-3' (配列番号40)

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