

【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5年2月8日(2023.2.8)

【国際公開番号】WO2020/160336

【公表番号】特表2022-519019(P2022-519019A)

【公表日】令和4年3月18日(2022.3.18)

【年通号数】公開公報(特許)2022-049

【出願番号】特願2021-541152(P2021-541152)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

A 6 1 P 25/14(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

A 6 1 P 25/14

A 6 1 K 31/7088

10

【手続補正書】

【提出日】令和5年1月30日(2023.1.30)

【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】

オリゴヌクレオチドであって、

(a) 前記オリゴヌクレオチドは、SNP rs362273を標的化し、及び前記オリゴヌクレオチドの塩基配列は、塩基配列 G U U G A T C T G T A G C A G C A G C T 又は G T T G A T C T G T A G C A G C A G C T (式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)の、SNP位置を含む少なくとも15個の隣接塩基を含む；

(b) 前記オリゴヌクレオチドは、SNP rs362272を標的化し、及び前記オリゴヌクレオチドの塩基配列は、塩基配列 A C A T A G A G G A C G C C G T G C A G、A G A G G A C G C C G T G C A G G G C T、A T A G A G G A C G C C G T G C A G G、C A C A T A G A G G A C G C C G T G C A、C A T A G A G G A C G C C G T G C A G G、G C A C A T A G A G G A C G C C G T G C 又は T A G A G G A C G C C G T G C A G G G C (式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)の、SNP位置を含む少なくとも15個の隣接塩基を含む；

(c) 前記オリゴヌクレオチドは、SNP rs362273を標的化し、及び前記オリゴヌクレオチドの塩基配列は、塩基配列 A G C T G C T G C T A C A G A T C A A C、A G C T G C T G C T G C A G A T C A A C、G G T T G A T C T G T A G C A G C A G C T、G T T G A T C T G T A G C A G C A G C T 又は T T G A T C T G T A G C A G C A G C T (式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)の、SNP位置を含む少なくとも15個の隣接塩基を含む；

(d) 前記オリゴヌクレオチドは、SNP rs362307を標的化し、及び前記オリゴヌクレオチドの塩基配列は、塩基配列 G G C A C A A G G G C A C A G A C、G G C A C A A G G G C A C A G A C T 又は G G C A C A A G G G C A C A G A C T T (式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)の、SNP位置を含む少なくとも15個の隣接塩基を含む；

20

30

40

50

(e) 前記オリゴヌクレオチドは、SNP rs362331を標的化し、及び前記オリゴヌクレオチドの塩基配列は、塩基配列GTGCACACAGTAGATGAGGG(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)の、SNP位置を含む少なくとも15個の隣接塩基を含む；又は

(f) 前記オリゴヌクレオチドは、SNP rs363099を標的化し、及び前記オリゴヌクレオチドの塩基配列は、塩基配列AAGGCTGAGCGGAGAAACCC、AGGCTGAGCGGAGAAACCCCT、CAAGGCTGAGCGGAGAAACC、CTGAGCGGAGAAACCCCTCCA、GCTGAGCGGAGAAACCCCTCC、GGCTGAGCGGAGAAACCCCTC又はTGAGCGGAGAAACCCCTCCA(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)の、SNP位置を含む少なくとも15個の隣接塩基を含み；

前記オリゴヌクレオチドは、1つ以上のキラルインターヌクレオチド結合を含む、オリゴヌクレオチド。

【請求項2】

前記オリゴヌクレオチドの塩基配列は、

(a) GUUGATCTGTAGCAGCAGCT又はGTTGATCTGTAGCAGCAGCT(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)；

(b) ACATAGAGGACGCCCGTGCAG、AGAGGACGCCCGTGCAGGG、CACATAGAGGACGCCCGTGCAG、CATAGAGGACGCCCGTGCAGGG、GCACATAGAGGACGCCCGTGCAG又はTAGAGGACGCCCGTGCAGGGGC(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)；

(c) AGCTGCTGCTACAGATCAAC、AGCTGCTGCTGCTGCAGATCAAC、GGTTGATCTGTAGCAGCAGCT、GTTGATCTGTAGCAGCAGCT又はTTGATCTGTAGCAGCAGCT(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)；

(d) GGCAACAAGGGCACAGAC、GGCAACAAGGGCACAGACT又はGGCAACAAGGGCACAGACTT(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)；

(e) GTGCACACAGTAGATGAGGG(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)；又は

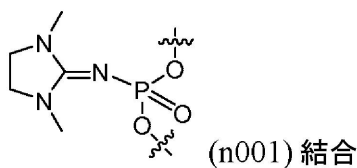
(f) AAGGCTGAGCGGAGAAACCC、AGGCTGAGCGGAGAAACCCCT、CAAGGCTGAGCGGAGAAACC、CTGAGCGGAGAAACCCCTCCA、GCTGAGCGGAGAAACCCCTCC、GGCTGAGCGGAGAAACCCCTC又はTGAGCGGAGAAACCCCTCCA(式中、各Tは、独立に、Uに置き換えられ得る)

を含むか又はそれである、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項3】

前記オリゴヌクレオチドの各インターヌクレオチド結合は、独立に、天然リン酸結合、ホスホロチオエート結合、又は

【化1】



である、請求項1又は2に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項4】

1つ以上の天然リン酸結合、1つ以上のSpホスホロチオエート結合及び1つ以上のR

10

20

30

40

50

p n 0 0 1 結合を含む、請求項 1 又は 2 に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項 5】

それぞれ独立に 1 つ以上の修飾糖を含む 5' - ウィング及び 3' - ウィング並びに前記 5' - ウィングと前記 3' - ウィングとの間のコアを含むか又はそれからなる、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項 6】

5 個の連続する 2' - OMe 修飾糖を含む 5' - ウィングと、5 個の連続する 2' - OMe 修飾糖を含む 3' - ウィングとを含む、請求項 5 に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項 7】

前記コアは、1 つ以上の非修飾天然 DNA 糖を含む、請求項 5 又は 6 に記載のオリゴヌクレオチド。 10

【請求項 8】

オリゴヌクレオチドであって、

mG * S mUn001R mU mGn001R mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG *
 SC * SA * SG * R m5Ceon001RAeoGeon001R m5Ceo * STeo、
 mG * S mUn001R mU * S mGn001R mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG *
 * SC * SA * SG * R m5Ceon001RAeoGeon001R m5Ceo * STeo、
 mG * S mUn001R mU mGn001R mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG *
 SC * SA * SG * R m5CeoAeoGeon001R m5Ceo * STeo、
 mG * S mUn001R mU * S mG mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG * SC * 20
 * SA * SG * R m5Ceon001RAeoGeon001R m5Ceo * STeo、
 mG * SmU * SmU * SmG * SmA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG * SC *
 SA * SG * Rm5CeoAeoGeom5Ceo * STeo、
 mG * SmU * SmU * SmG * SmA * ST * SC * ST * SG * ST * SA * RG * SC *
 SA * SG * Rm5CeoAeoGeom5Ceo * STeo、
 mG * SmU * SmU * SmG * SmA * ST * SC * ST * SG * ST * SA * SG * RC *
 SA * SG * Rm5CeoAeoGeom5Ceo * STeo、
 Geo * RTeon001STeon001SGeon001SAeo * RT * SC * ST * SG * ST * RA *
 SG * SC * SA * SG * Rm5Ceo * SmA * SmG * SmC * SmU、
 mA * Sm5Ceom5CeoGeomC * RC * SA * ST * SC * RC * SC * Sm5C * RG * S 30
 C * Sm5C * RmG * SmU * SmA * SmG * SmC、
 mG * STeoTeoAeomC * Rm5C * SG * RC * SC * RA * ST * SC * SC * SC * S
 m5C * RmG * SmC * SmC * SmG * SmU、
 mG * STeoTeoAeomC * Sm5C * SG * RC * SC * RA * ST * SC * SC * SC * S
 m5C * RmG * SmC * SmC * SmG * SmU、
 mA * Sm5Ceom5CeoGeomC * SC * SA * ST * SC * RC * SC * Sm5C * RG * S
 C * Sm5C * RmG * SmU * SmA * SmG * SmC、
 mG * S mU * S mU * S mG * S mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG * SC
 * SA * SG * R m5Ceon001RAeon001RGeon001R m5Ceo * STeo、
 mG * S mU * S mUn001R mG * S mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG * 40
 SC * SA * SG * R m5Ceon001RAeoGeo m5Ceo * STeo、
 mG * S mUn001R mUn001R mGn001R mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA *
 SG * SC * SA * SG * R m5Ceon001RAeon001RGeon001R m5Ceo * STeo、
 mG * SmU * SmUmG * SmA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG * SC * SA *
 SG * Rm5Ceon001RAeon001RGeon001Rm5Ceo * STeo、
 mG * SmU * SmUmG * SmA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG * ST * SA *
 SG * Rm5Ceon001RAeon001RGeon001Rm5Ceo * STeo、
 mG * SmUn001RmU * SmGn001RmA * ST * Sm5C * ST * SG * ST * RA * SG
 * Sm5C * SA * SG * Rm5Ceon001RAeoGeon001Rm5Ceo * STeo、
 mG * SmUn001RmUmGn001RmA * ST * Sm5C * ST * SG * ST * RA * SG * S 50

m5C * SA * SG * Rm5Ceon001RAeoGeon001Rm5Ceo * STeo、
mG * SmUn001RmUmGn001RmA * ST * Sm5C * ST * SG * ST * RA * SG * S
m5C * SA * SG * Rm5CeoAeoGeon001Rm5Ceo * STeo、
mG * SmUn001RmU * SmGmA * ST * Sm5C * ST * SG * ST * RA * SG * Sm
5C * SA * SG * Rm5Ceon001RAeoGeon001Rm5Ceo * STeo、
mA * Sm5Ceom5CeoGeomC * SC * SA * ST * SC * RC * SC * Sm5C * SG * R
C * Sm5C * SmG * SmU * SmA * SmG * SmC、
mA * Sm5Ceom5CeoGeomC * SC * SA * ST * SC * SC * RC * Sm5C * SG * R
C * Sm5C * SmG * SmU * SmA * SmG * SmC、
mA * Sm5Ceom5CeoGeomC * SC * SA * ST * RC * SC * SC * Rm5C * SG * S
C * Sm5C * SmG * SmU * SmA * SmG * SmC、
mA * Sm5Ceom5CeoGeomC * SC * SA * RT * SC * SC * RC * Sm5C * SG * R
C * Sm5C * SmG * SmU * SmA * SmG * SmC、
mG * STeoTeoAeomC * Sm5C * SG * SC * SC * RA * ST * SC * SC * RC * S
m5C * SmG * SmC * Sm5mC * SmG * SmU、
mG * STeoTeoAeomC * Sm5C * SG * SC * SC * RA * ST * SC * RC * SC * S
m5C * SmG * SmC * Sm5mC * SmG * SmU、
mG * STeoTeoAeomC * Sm5C * SG * SC * SC * SA * RT * SC * SC * RC * S
m5C * SmG * SmC * Sm5mC * SmG * SmU、
mG * STeoTeoAeomC * Sm5C * SG * RC * SC * SA * RT * SC * SC * RC * S
m5C * SmG * SmC * Sm5mC * SmG * SmU、
mG * SGeom5CeoTeomC * ST * SG * RG * SG * ST * ST * SG * SC * RT * SG
* SmG * SmG * SmU * SmC * SmA、
mG * SGeom5CeoTeomC * ST * SG * RG * SG * ST * ST * SG * RC * ST * SG
* SmG * SmG * SmU * SmC * SmA、
mG * SGeom5CeoTeomC * ST * SG * RG * SG * ST * ST * RG * SC * ST * SG
* SmG * SmG * SmU * SmC * SmA、
mG * SGeom5CeoTeomC * ST * SG * RG * SG * ST * RT * SG * SC * RT * S
G * SmG * SmG * SmU * SmC * SmA、
mG * SGeoTeoGeomU * SC * SC * RC * ST * SC * SA * ST * SG * RG * SG *
SmC * SmU * SmC * SmU * SmG、
mG * SGeoTeoGeomU * SC * SC * RC * ST * SC * RA * ST * SG * SG * SG *
SmC * SmU * SmC * SmU * SmG、
mG * SGeoTeoGeomU * SC * SC * SC * RT * SC * SA * ST * SG * RG * SG *
SmC * SmU * SmC * SmU * SmG、又は
mG * SGeoTeoGeomU * SC * SC * RC * ST * SC * RA * ST * SG * RG * SG *
SmC * SmU * SmC * SmU * SmG
 であり、

10

20

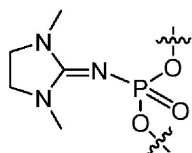
30

40

50

mは、2' - OMeであり、
e oは、2' - MOE (2' - OCH₂CH₂OCH₃)であり、
m5は、Cの5位におけるメチル(核酸塩基は5 - メチルシトシンである)であり、
m5Ceoは、5 - メチル2' - O - メトキシエチルCであり、
m5mCは、5 - メチル2' - OMe Cであり、
n001は、

【化2】



であり、

* R は、R_p配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

* S は、S_p配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

n 0 0 1 R 又は n R は、R_p配座の n 0 0 1 であり、

n 0 0 1 S 又は n S は、S_p配座の n 0 0 1 である、

オリゴヌクレオチド。

【請求項 9】

オリゴヌクレオチドであって、mG * S mUn001R mU mGn001R mA * ST * SC * ST * SG * ST * RA * SG * SC * SA * SG * R m5Ceon001RAeoGeon001R m5 Ceo * STeoまたはその塩であり、

10

m は、2' - OMe であり、

eo は、2' - MOE (2' - OCH₂CH₂OCH₃) であり、

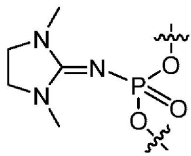
m5 は、C の 5 位におけるメチル (核酸塩基は 5 - メチルシトシンである) であり、

m5 Ceo は、5 - メチル 2' - O - メトキシエチル C であり、

m5 mC は、5 - メチル 2' - OMe C であり、

n 0 0 1 は、

【化 3】



20

であり、

* R は、R_p配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

* S は、S_p配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

n 0 0 1 R 又は n R は、R_p配座の n 0 0 1 であり、

n 0 0 1 S 又は n S は、S_p配座の n 0 0 1 である、

オリゴヌクレオチド。

【請求項 10】

30

オリゴヌクレオチドであって、mG * S mUn001R mU * S mG mA * ST * SC * S T * SG * ST * RA * SG * SC * SA * SG * R m5Ceon001RAeoGeon001R m5C eo * STeoまたはその塩であり、

m は、2' - OMe であり、

eo は、2' - MOE (2' - OCH₂CH₂OCH₃) であり、

m5 は、C の 5 位におけるメチル (核酸塩基は 5 - メチルシトシンである) であり、

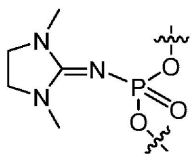
m5 Ceo は、5 - メチル 2' - O - メトキシエチル C であり、

m5 mC は、5 - メチル 2' - OMe C であり、

n 0 0 1 は、

【化 4】

40



であり、

* R は、R_p配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

* S は、S_p配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

n 0 0 1 R 又は n R は、R_p配座の n 0 0 1 であり、

50

n 0 0 1 S 又は n S は、 S p 配座の n 0 0 1 である、
オリゴヌクレオチド。

【請求項 1 1】

オリゴヌクレオチドであって、 m G * S m U n 0 0 1 R m U * S m G n 0 0 1 R m A * S T *
S C * S T * S G * S T * R A * S G * S C * S A * S G * R m 5 C e o n 0 0 1 R A e o G e o n 0 0 1
R m 5 C e o * S T e o またはその塩であり、

m は、 2' - O M e であり、

e o は、 2' - M O E (2' - O C H C H 2 O C H 3) であり、

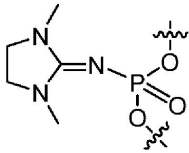
m 5 は、 C の 5 位におけるメチル (核酸塩基は 5 - メチルシトシンである) であり、

m 5 C e o は、 5 - メチル 2' - O - メトキシエチル C であり、

m 5 m C は、 5 - メチル 2' - O M e C であり、

n 0 0 1 は、

【化 5】



であり、

* R は、 R p 配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

* S は、 S p 配座の単一のホスホロチオエート結合を示し、

n 0 0 1 R 又は n R は、 R p 配座の n 0 0 1 であり、

n 0 0 1 S 又は n S は、 S p 配座の n 0 0 1 である、

オリゴヌクレオチド。

【請求項 1 2】

薬学的に許容可能な塩の形態である、請求項 1 ~ 1 1 のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項 1 3】

ナトリウム塩形態である、請求項 1 ~ 1 2 のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチド

【請求項 1 4】

少なくとも約 1 0 %、 2 0 %、 3 0 %、 4 0 %、 5 0 %、 5 5 %、 6 0 %、 6 5 %、 7 0 %、 7 5 %、 8 0 %、 8 5 %、 9 0 %、 9 5 % 又は 9 9 % のジアステレオ純度である、請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項 1 5】

請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチドのキラル制御されたオリゴヌクレオチド組成物。

【請求項 1 6】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約 1 0 %、 2 0 %、 3 0 %、 4 0 %、 5 0 %、 5 5 %、 6 0 %、 6 5 %、 7 0 %、 7 5 %、 8 0 %、 8 5 %、 9 0 %、 9 5 % 若しくは 9 9 %、又は前記オリゴヌクレオチドと同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項 1 4 に記載の組成物。

【請求項 1 7】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約 1 0 %、 2 0 %、 3 0 %、 4 0 %、 5 0 %、 5 5 %、 6 0 %、 6 5 %、 7 0 %、 7 5 %、 8 0 %、 8 5 %、 9 0 %、 9 5 % 若しくは 9 9 %、又は G U U G A T C T G T A G C A G C A G C T と同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項 9 に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項 1 4 に記載の組成物。

10

20

30

40

50

【請求項 18】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約10%、20%、30%、40%、50%、55%、60%、65%、70%、75%、80%、85%、90%、95%若しくは99%、又はGUUGATCTGTAGCAGCAGCTと同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項10に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項14に記載の組成物。

【請求項 19】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約10%、20%、30%、40%、50%、55%、60%、65%、70%、75%、80%、85%、90%、95%若しくは99%、又はGUUGATCTGTAGCAGCAGCTと同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項11に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項14に記載の組成物。

10

【請求項 20】

治療有効量のオリゴヌクレオチドと薬学的に許容可能な不活性成分とを含む医薬組成物であって、前記オリゴヌクレオチドは、請求項1～14のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチドである、医薬組成物。

【請求項 21】

治療有効量のオリゴヌクレオチドと薬学的に許容可能な緩衝液とを含む医薬組成物であって、前記オリゴヌクレオチドは、請求項1～14のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチドである、医薬組成物。

20

【請求項 22】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約10%、20%、30%、40%、50%、55%、60%、65%、70%、75%、80%、85%、90%、95%若しくは99%、又は前記オリゴヌクレオチドと同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項1～13のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項20に記載の組成物。

【請求項 23】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約10%、20%、30%、40%、50%、55%、60%、65%、70%、75%、80%、85%、90%、95%若しくは99%、又はGUUGATCTGTAGCAGCAGCTと同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項9に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項20に記載の組成物。

30

【請求項 24】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約10%、20%、30%、40%、50%、55%、60%、65%、70%、75%、80%、85%、90%、95%若しくは99%、又はGUUGATCTGTAGCAGCAGCTと同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項10に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項20に記載の組成物。

【請求項 25】

前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも約10%、20%、30%、40%、50%、55%、60%、65%、70%、75%、80%、85%、90%、95%若しくは99%、又はGUUGATCTGTAGCAGCAGCTと同じ塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、請求項11に記載のオリゴヌクレオチドである、請求項20に記載の組成物。

40

【請求項 26】

前記オリゴヌクレオチドは、薬学的に許容可能な塩の形態である、請求項15～25のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 27】

前記オリゴヌクレオチドは、ナトリウム塩形態である、請求項15～25のいずれか一項に記載の組成物。

50

【請求項 28】

ハンチントン病の少なくとも1つの症状を治療し、それを予防し、その発症を遅延させ、及び/又はその重症度を低下させるための医薬組成物であって、それに罹患しているか又はそれに罹り易い対象に、有効量で投与され、請求項1～14のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチド又は請求項15～27のいずれか一項に記載の組成物を含む医薬組成物。

【請求項 29】

前記対象は、伸長CAGリピート領域を含むHTTアレルであって、前記オリゴヌクレオチドの塩基配列と完全に相補的なHTTアレルを有する、請求項28に記載の医薬組成物。

10

【請求項 30】

前記オリゴヌクレオチドまたは組成物は、請求項9または17に記載のオリゴヌクレオチドまたは組成物である、請求項28または29に記載の医薬組成物。

【請求項 31】

前記オリゴヌクレオチドまたは組成物は、請求項10または18に記載のオリゴヌクレオチドまたは組成物である、請求項28または29に記載の医薬組成物。

【請求項 32】

前記オリゴヌクレオチドまたは組成物は、請求項11または19に記載のオリゴヌクレオチドまたは組成物である、請求項28または29に記載の医薬組成物。

【請求項 33】

前記対象は、SNP rs362273位置がAであり、伸長したCAGリピートを含むHTT核酸を発現する、請求項30～32のいずれか一項に記載の医薬組成物。

20

【請求項 34】

前記対象は、SNP rs362273位置がGであり、35以下のCAGリピートを含むHTT核酸を発現する、請求項30～32のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 35】

請求項1～14のいずれか一項に記載のオリゴヌクレオチド、請求項15～27のいずれか一項に記載の組成物、又は、請求項28～34のいずれか一項に記載の医薬組成物を作製する方法であって、キラル補助基、キラル補助基を含むホスホロアミダイト、またはアジドイミダゾリニウム塩を提供することを含む方法。

30

40

50