

【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】平成28年2月18日 (2016.2.18)

【公表番号】特表2015-507478(P2015-507478A)

【公表日】平成27年3月12日 (2015.3.12)

【年通号数】公開・登録公報2015-016

【出願番号】特願2014-551296(P2014-551296)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 9/99 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 27/06 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A G

C 1 2 N 9/99

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 27/06

【手続補正書】

【提出日】平成27年12月24日 (2015.12.24)

【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】

眼の疾患、眼の障害、もしくは眼の傷害に冒されているか、またはそれらを発病する危険性がある患者の治療に使用するための医薬組成物であって、

構造：

5' i B - G C C A G A A U G U G G A A C U C C U 3' (センス鎖、配列番号 1)

3' C G G U C U U A C A C C U U G A G G A 5' (アンチセンス鎖、配列番号 2)

を有する二本鎖 RNA 化合物であって、式中、各 A、C、U、および G は、ヌクレオチドであり、各連続したヌクレオチドは、次のヌクレオチドとホスホジエステル結合によって連結され、

各ヌクレオチドは、独立して、非修飾リボヌクレオチド、2'-O-メチル糖修飾リボヌクレオチド、または L-DNA ヌクレオチドであり、

前記センス鎖は、5' 末端から数えて、1、2、3、4、5、6、7、8、9、10、11、12、13、14、15、16、17、および 19 位のそれぞれに非修飾リボヌクレオチド、18 位に L-デオキシシチジン、ならびに 5' 末端に共有結合している逆位脱塩基デオキシリボースキャップ (i B) を含み、

前記アンチセンス鎖は、5' 末端から数えて、2、4、6、8、11、13、15、17、および 19 位のそれぞれに 2'-O-メチル糖修飾リボヌクレオチド、ならびに 1、3

、5、7、9、10、12、14、16、および18位のそれぞれに非修飾リボヌクレオチドを含む、

二本鎖RNA化合物を含んでおり、

前記医薬組成物は、前記化合物が、片眼につき約0.05mg～約10mgの用量で前記患者の眼に投与されるように使用されるものであり、

二本鎖RNA化合物は薬学的に許容される塩の形態である、
医薬組成物。

【請求項2】

前記治療が、前記化合物の複数回（すなわち、2、3、4、5、6回以上）連続投与を含む、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項3】

前記複数回連続投与は、複数回連続する硝子体内（IVT）注射を含む、請求項2に記載の医薬組成物。

【請求項4】

前記硝子体内（IVT）注射が、6回投与される、請求項3に記載の医薬組成物。

【請求項5】

前記複数回投与が、一定間隔、好ましくは約1ヵ月または約2ヵ月、で生じる、請求項2～4のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項6】

前記化合物が、約1ヵ月の一定間隔で6回の連続硝子体内（IVT）注射として投与される、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項7】

前記眼の疾患、眼の障害、または眼の傷害は、視野喪失および/または視力欠損を含む、請求項1～6のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項8】

前記眼の疾患、眼の障害、または眼の傷害は、神経変性、上昇した眼内圧、虚血性事象、網膜傷害、または視神経傷害を含む、請求項1～6のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項9】

前記眼の疾患、眼の障害、または眼の傷害が、非動脈炎性前部虚血性視神経症（NAION）である、請求項1～6のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項10】

前記眼の疾患、眼の障害、または眼の傷害が、緑内障、好ましくは原発開放隅角緑内障、正常眼圧緑内障、原発閉塞隅角緑内障（PACG）、急性閉塞隅角緑内障（AACG）、および閉塞隅角緑内障からなる群から選択される原発性緑内障である、請求項1～6のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項11】

前記化合物が、前記NAION症状の発症から14日以内に前記患者の眼に投与される、請求項9に記載の医薬組成物。

【請求項12】

前記化合物が、前記NAION症状の発症から28日以内に前記患者の眼に投与される、請求項9に記載の医薬組成物。

【請求項13】

前記薬学的に許容される塩が、ナトリウム塩である、請求項1に記載の医薬組成物。

【請求項14】

前記医薬組成物は、薬学的に許容される担体を含む液体組成物である、請求項1～13のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項15】

前記液体組成物が、単回用量の硝子体内（IVT）注射用に調製され、かつ、単回用量

の I V T 注射の量が、約 2 0 μ l ~ 約 2 0 0 μ l、好ましくは約 5 0 μ l ~ 約 1 0 0 μ l
の間である、請求項 1 4 に記載の医薬組成物。