

【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6年4月23日(2024.4.23)

【国際公開番号】WO2023/013613

【出願番号】特願2023-540349(P2023-540349)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

C 1 2 N 15/10(2006.01)

C 1 2 Q 1/6813(2018.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 31/7105(2006.01)

A 6 1 K 31/712(2006.01)

A 6 1 K 31/713(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

C 1 2 N 15/10 Z

C 1 2 Q 1/6813 Z

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/712

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 0 5

20

【手続補正書】

【提出日】令和6年1月30日(2024.1.30)

【手続補正1】

30

【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】

機能的立体構造を形成しない目的の核酸にハイブリダイズして特定の立体構造を誘導する人工核酸であって、

前記人工核酸は前記目的の核酸の標的ドメインと立体構造を形成する立体構造形成誘導ドメインを含み、

40

前記標的ドメインと前記立体構造形成誘導ドメインは、特定の立体構造を構成する二本鎖からなる配列モチーフを構成し、

前記配列モチーフにおいて、前記立体構造形成誘導ドメイン及び前記標的ドメインは互いに相補的な配列からなる相補領域を含み、

さらに前記配列モチーフにおいて、前記立体構造形成誘導ドメイン及び/又は前記標的ドメインは互いに非相補的な配列を含む1塩基以上の非相補含有領域を含み、

前記非相補含有領域はその両末端に非相補的な配列を含む、  
前記人工核酸。

【請求項2】

前記立体構造形成誘導ドメインの一方又は両方に隣接する6塩基～120塩基からなる八

50

イブリダイズドメインをさらに含む、請求項 1 に記載の人工核酸。

【請求項 3】

前記立体構造形成誘導ドメイン及び/又は前記標的ドメインが複数の前記相補領域を含み、前記非相補含有領域が前記複数の相補領域の間に位置する、請求項 1 に記載の人工核酸。

【請求項 4】

前記非相補含有領域が 2 ~ 7 塩基からなる、請求項 1 に記載の人工核酸。

【請求項 5】

前記特定の立体構造がキクターン構造、バルジドG構造、リバースキクターン構造、5SループE構造、Cループ構造、及びタンデムGA構造からなる群から選択される1以上を含む、請求項 1 に記載の人工核酸。 10

【請求項 6】

キクターン構造が、5'-NNNNGAN-3'及び5'-NGAN-3'、  
バルジドG構造が、5'-NNGUAN-3'及び5'-NGANNN-3'、  
リバースキクターン構造が、5'-NNNNAAN-3'及び5'-NGAN-3'、  
5SループE構造が、5'-NGUAN-3'及び5'-NGAUN-3'、  
Cループ構造が、5'-NCACU-3'及び5'-ANN-3'、又は  
タンデムGA構造が、5'-NGAN-3'及び5'-NGAN-3'

からなり、

各塩基配列において、NはA、C、G又はUである、 20

請求項 5 に記載の人工核酸。

【請求項 7】

前記目的の核酸がmRNA又はmiRNAである、請求項 1 に記載の人工核酸。

【請求項 8】

前記ハイブリダイズが、高ストリンジェントな条件で行われる、請求項 1 に記載の人工核酸。

【請求項 9】

前記立体構造形成誘導ドメインに1以上の修飾ヌクレオチドを含む、請求項 1 に記載の人工核酸。

【請求項 10】 30

前記修飾ヌクレオチドが、2'-OMe RNA、2'-MOE RNA、LNA、2'-O,5'-N BNA、2'-デオキシ-トランス-3',4'-BNA及びDNAからなる群から選択される、請求項 9 に記載の人工核酸。

【請求項 11】

前記修飾ヌクレオチドが、リボースの2'位におけるフルオロ基修飾を含む、請求項 9 に記載の人工核酸。

【請求項 12】

前記標的ドメインが、変異を含む前記非相補含有領域を含む、請求項 1 に記載の人工核酸。

【請求項 13】 40

前記変異が一塩基パリアント、挿入欠失変異、構造多型又はその組合せである、請求項 12 に記載の人工核酸。

【請求項 14】

請求項 1 ~ 13 のいずれか一項に記載の人工核酸を有効成分として含む遺伝子発現抑制剤。

【請求項 15】

請求項 1 ~ 13 のいずれか一項に記載の人工核酸を有効成分として含む核酸検出剤。

【請求項 16】

機能的立体構造を形成しない目的の核酸にハイブリダイズして特定の立体構造を誘導する人工核酸の製造方法であって、 50

前記目的の核酸において、特定の立体構造を構成する二本鎖からなる配列モチーフの一方の配列情報を検索し、そのいずれか1以上を標的ドメインとして選択する標的ドメイン選択工程、

前記標的ドメインと配列モチーフを構成するように立体構造形成誘導ドメインの配列を決定する立体構造形成誘導ドメイン決定工程、及び

前記立体構造形成誘導ドメイン決定工程で決定された配列情報に基づいて前記人工核酸を合成する核酸合成工程を含み、

前記配列モチーフにおいて、前記標的ドメイン及び前記立体構造形成誘導ドメインは、互いに相補的な配列からなる相補領域を含み、

10

さらに前記配列モチーフにおいて、前記標的ドメイン及び/又は前記立体構造形成誘導ドメインは、互いに非相補的な配列を含む1塩基以上の非相補含有領域を含み、

前記非相補含有領域はその両末端に非相補的な配列を含む、  
前記方法。

20

30

40

50