

【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 1 年 8 月 29 日 (2019.8.29)

【公表番号】特表 2018-524013 (P2018-524013A)

【公表日】平成 30 年 8 月 30 日 (2018.8.30)

【年通号数】公開・登録公報 2018-033

【出願番号】特願 2018-502637 (P2018-502637)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/11 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 15/115 (2010.01)

C 1 2 N 15/117 (2010.01)

A 6 1 P 25/14 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 47/24 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/11 Z N A Z

C 1 2 N 15/113 Z

C 1 2 N 15/115 Z

C 1 2 N 15/117 Z

A 6 1 P 25/14

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 47/24

【手続補正書】

【提出日】令和 1 年 7 月 19 日 (2019.7.19)

【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】

キラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、

(1) 塩基配列；

(2) 骨格の架橋パターン；

(3) 骨格のキラル中心のパターン；および

(4) 骨格のリン修飾のパターン

によって定義される特定のオリゴヌクレオチドタイプの第 1 の複数のオリゴヌクレオチドを含み、

前記オリゴヌクレオチド組成物は、前記組成物における前記オリゴヌクレオチドの実質的にすべてが前記特定のタイプであるという点において、実質的に純粋であり、

その骨格のキラル中心においてキラル純粋であり、

キラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物は、前記骨格のキラル中心においてキラル純粋ではない対応する参照組成物（リファレンス組成物）に比べて、低い補体活性を示すことにより決定された、組成物。

【請求項 2】

請求項 1 に記載のキラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、
前記補体活性が C 3 a 又は B b の存在、絶対的レベル及び / 又は相対的レベルを検出するアッセイにより観測される、組成物。

【請求項 3】

請求項 1 に記載のキラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、
前記骨格のキラル中心は、少なくとも 1 つの R p と少なくとも 1 つの S p とを含む、組成物。

【請求項 4】

請求項 3 に記載のキラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、
第 1 の複数のオリゴヌクレオチドにおけるそれぞれのヌクレオチド間結合は、ホスホロチオエートジエステル結合である、組成物。

【請求項 5】

キラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、

- (1) 塩基配列；
- (2) 骨格の架橋パターン；
- (3) 骨格のキラル中心のパターン；および
- (4) 骨格のリン修飾のパターン

によって定義される特定のオリゴヌクレオチドタイプの第 1 の複数のオリゴヌクレオチドを含み、

前記オリゴヌクレオチド組成物は、前記組成物における前記オリゴヌクレオチドの実質的にすべてが前記特定のタイプであるという点において、実質的に純粋であり、

その骨格のキラル中心においてキラル純粋であり、

キラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物は、前記骨格において異なる立体化学を有する対応する参照組成物（リファレンス組成物）に比べて、低い補体活性を示すことにより決定された、組成物。

【請求項 6】

請求項 5 に記載のキラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、

前記補体活性が C 3 a 又は B b の存在、絶対的レベル及び / 又は相対的レベルを検出するアッセイにより観測される、組成物。

【請求項 7】

請求項 5 に記載のキラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、

前記骨格のキラル中心は、少なくとも 1 つの R p と少なくとも 1 つの S p とを含む、組成物。

【請求項 8】

請求項 5 に記載のキラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、

第 1 の複数のオリゴヌクレオチドにおけるそれぞれのヌクレオチド間結合は、ホスホロチオエートジエステル結合である、組成物。

【請求項 9】

キラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物であって、

- (1) 塩基配列；
- (2) 骨格の架橋パターン；
- (3) 骨格のキラル中心のパターン；および
- (4) 骨格のリン修飾のパターン

によって定義される特定のオリゴヌクレオチドタイプの第 1 の複数のオリゴヌクレオチドを含み、

前記オリゴヌクレオチド組成物は、前記組成物における前記オリゴヌクレオチドの実質的にすべてが前記特定のタイプであるという点において、実質的に純粋であり、

その骨格のキラル中心においてキラル純粋であり、

キラル純粋なオリゴヌクレオチド組成物は、前記骨格のキラル中心においてキラル純粋ではない対応する参照組成物（リファレンス組成物）に比べて、低い補体活性を示すこと

により決定され、

前記補体活性が C 3 a 又は B b の存在、絶対的レベル及び / 又は相対的レベルを検出するアッセイにより観測され、

前記骨格のキラル中心は、少なくとも 1 つの R p と少なくとも 1 つの S p とを含む、組成物。