

【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3月22日(2024.3.22)

【公開番号】特開2023-96009(P2023-96009A)

【公開日】令和5年7月6日(2023.7.6)

【年通号数】公開公報(特許)2023-126

【出願番号】特願2023-80165(P2023-80165)

【国際特許分類】

C 12 N 15/113(2010.01)
 A 61 K 31/713(2006.01)
 A 61 K 48/00(2006.01)
 A 61 P 35/00(2006.01)
 A 61 P 35/02(2006.01)
 A 61 K 31/7105(2006.01)

10

【F I】

C 12 N 15/113110Z
 C 12 N 15/113 Z N A
 A 61 K 31/713
 A 61 K 48/00
 A 61 P 35/00
 A 61 P 35/02
 A 61 K 31/7105

20

【手続補正書】

【提出日】令和6年3月13日(2024.3.13)

【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

30

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

センス鎖が配列番号17、13、16又は21における配列から成る二本鎖s i R N A分子、又は、s i R N Aセンス配列が配列番号17、13、16又は21における配列から成る、二本鎖s h R N A分子。

【請求項2】

前記s h R N A分子が、15～30塩基対の長さのステムを含む、請求項1に記載の二本鎖s h R N A分子。

【請求項3】

請求項1又は2に記載の二本鎖s i R N A分子、又は、二本鎖s h R N A分子を含む、処置において使用するための医薬組成物。

【請求項4】

対象の癌を処置する方法において使用するための、請求項1又は2に記載の二本鎖s i R N A分子、又は、二本鎖s h R N A分子を含む医薬組成物であって、前記方法が、1つまたは複数の請求項1又は2に記載の二本鎖s i R N A分子、又は、二本鎖s h R N A分子を対象に投与することを含む、医薬組成物。

【請求項5】

前記癌が、

(a) 食道、上気道、皮膚、上皮、中枢神経系、卵巣、乳房、胃・腸、大腸、小腸、結腸

40

50

直腸、肝臓、腺癌、副腎腺癌、甲状腺、肺、脾臓、腎臓、子宮内膜、造血、筋肉、結合組織（腱又は軟骨など）、骨、軟部組織、リンパ組織、リンパ系、及び免疫系からなる群から選択される、

（b）黒色腫、骨髄腫、癌腫、肉腫、リンパ腫、芽細胞腫、及び胚細胞腫瘍からなる群から選択される、

（c）肺癌、悪性黒色腫、結腸癌、乳癌、子宮内膜腺癌、横紋筋肉腫、腎腺癌、結腸腺癌、肝細胞癌、気管支扁平上皮癌、卵巣癌、及び脾臓腺癌からなる群から選択される、及び/又は

（d）腫瘍抑制遺伝子に依存し、前記腫瘍抑制遺伝子がp53である、

請求項4に記載の医薬組成物。

10

【請求項6】

前記対象がp53腫瘍抑制遺伝子において、R249(p53)、R248(p53)、R273(p53)からなる群から選択される1つ又は複数の部位において1つ又は複数の点変異を有する、任意で前記1つ又は複数の点変異がR249S(p53)、R249G(p53)、R249M(p53)、R248W(p53)、R248Q(p53)、R273H(p53)、及びR273L(p53)からなる群から選択される、請求項4又は5に記載の医薬組成物。

【請求項7】

（a）前記対象が、p53腫瘍抑制遺伝子におけるR249(p53)で点変異を有し、医薬組成物が、センス鎖が配列番号17又は16における配列から成る二本鎖s_iRNA分子又はs_iRNAセンス配列が配列番号17又は16から成る二本鎖s_hRNA分子から選択される、及び/又は

（b）前記対象が、p53腫瘍抑制遺伝子におけるR248(p53)で点変異を有し、医薬組成物が、センス鎖が配列番号13における配列から成る二本鎖s_iRNA分子又はs_iRNAセンス配列が配列番号13から成る二本鎖s_hRNA分子から選択される、及び/又は

（c）前記対象が、p53腫瘍抑制遺伝子におけるR273(p53)で点変異を有し、医薬組成物が、センス鎖が配列番号21における配列から成る二本鎖s_iRNA分子又はs_iRNAセンス配列が配列番号21から成る二本鎖s_hRNA分子を含む、

請求項6に記載の医薬組成物。

20

30

【請求項8】

前記1つまたは複数の二本鎖s_iRNA又はs_hRNA分子の投与が、細胞死、依存の抑止、標的遺伝子のいずれか1つ又は複数の活性化、ドミナントネガティブ効果の軽減、1つ又は複数の抗癌剤に対する感受性の増加、及び腫瘍成長の遅延又は停止からなる群から選択される効果のいずれか1つ又は複数をもたらす、請求項4～7のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項9】

前記方法が治療薬の投与を含み、任意で前記治療薬が抗がん剤である、請求項4～8のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項10】

処置の影響を受けやすいと識別された対象の治療の方法において使用するための、請求項1又は2に記載の二本鎖s_iRNA分子又は二本鎖s_hRNA分子を含む医薬組成物であって、前記方法が

請求項1又は2に記載の二本鎖s_iRNA分子又は二本鎖s_hRNA分子を処置の影響を受けやすい対象に投与するステップであって、前記処置の影響を受けやすい対象が、p53腫瘍抑制遺伝子におけるR249(p53)、R248(p53)、及びR273(p53)からなる群から選択される1つ又は複数の部位において、1つ又は複数の点変異を有すると識別され、前記二本鎖s_iRNA分子又は二本鎖s_hRNA分子が、前記1つ又は複数の点変異部位を標的とする、医薬組成物。

40

【請求項11】

50

前記1つ又は複数の点変異が、R 2 4 9 S (p 5 3)、R 2 4 9 G (p 5 3)、R 2 4 9 M (p 5 3)、R 2 4 8 W (p 5 3)、R 2 4 8 Q (p 5 3)、R 2 7 3 H (p 5 3)、及びR 2 7 3 L (p 5 3)からなる群から選択される、請求項10に記載の医薬組成物。

【請求項12】

(a) 前記対象が、p 5 3 腺癌抑制遺伝子におけるR 2 4 9 (p 5 3)で点変異を有し、医薬組成物が、センス鎖が配列番号17又は16における配列から成る二本鎖s i R N A分子又はs i R N Aセンス配列が配列番号17又は16から成る二本鎖s h R N A分子を含む、及び/又は

(b) 前記対象が、p 5 3 腺癌抑制遺伝子におけるR 2 4 8 (p 5 3)で点変異を有し、医薬組成物が、センス鎖が配列番号13における配列から成る二本鎖s i R N A分子又はs i R N Aセンス配列が配列番号13から成る二本鎖s h R N A分子を含む、及び/又は

(c) 前記対象が、p 5 3 腺癌抑制遺伝子におけるR 2 7 3 (p 5 3)で点変異を有し、医薬組成物が、センス鎖が配列番号21における配列から成る二本鎖s i R N A分子又はs i R N Aセンス配列が配列番号21から成る二本鎖s h R N A分子を含む、

請求項10又は11に記載の医薬組成物。

10

20

30

40

50