

【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 1 2 N 15/113(2010.01)

A 6 1 K 31/713(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 35/02(2006.01)

A 6 1 K 31/7105(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113 1 1 0 Z

C 1 2 N 15/113 Z N A

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 35/02

A 6 1 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。

40

【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

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 p 5 3 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 p 5 3 腫瘍抑制遺伝子において、R 2 4 9（p 5 3）、R 2 4 8（p 5 3）、R 2 7 3（p 5 3）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 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 4 又は 5 に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

（a）前記対象が、p 5 3 腫瘍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 1 7 又は 1 6 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 1 7 又は 1 6 から成る二本鎖 s h R N A 分子から選択される、及び/又は

20

（b）前記対象が、p 5 3 腫瘍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 1 3 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 1 3 から成る二本鎖 s h R N A 分子から選択される、及び/又は

（c）前記対象が、p 5 3 腫瘍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 2 1 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 2 1 から成る二本鎖 s h R N A 分子を含む、

請求項 6 に記載の医薬組成物。

30

【請求項 8】

前記 1 つまたは複数の二本鎖 s i R N A 又は s h R N A 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】

40

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 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

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、p 5 3 腫瘍抑制遺伝子における R 2 4 9（p 5 3）、R 2 4 8（p 5 3）、及び R 2 7 3（p 5 3）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 i R N A 分子又は二本鎖 s h R N A 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。

【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 1 0 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 2】

(a) 前記対象が、p 5 3 腫瘍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 1 7 又は 1 6 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 1 7 又は 1 6 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 腫瘍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 1 3 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 1 3 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 腫瘍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 2 1 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 2 1 成る二本鎖 s h R N A 分子を含む、

請求項 1 0 又は 1 1 に記載の医薬組成物。

20

30

40

50