

【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3部門第2区分

【発行日】令和2年1月16日(2020.1.16)

【公開番号】特開2019-196384(P2019-196384A)

【公開日】令和1年11月14日(2019.11.14)

【年通号数】公開・登録公報2019-046

【出願番号】特願2019-133268(P2019-133268)

【国際特許分類】

C 0 7 H	21/02	(2006.01)
A 6 1 K	31/713	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	9/107	(2006.01)
A 6 1 K	9/51	(2006.01)
A 6 1 K	47/06	(2006.01)
C 1 2 N	15/113	(2010.01)
C 1 2 N	15/88	(2006.01)

【F I】

C 0 7 H	21/02	Z N A
A 6 1 K	31/713	
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	9/107	
A 6 1 K	9/51	
A 6 1 K	47/06	
C 1 2 N	15/113	1 4 0 Z
C 1 2 N	15/88	Z

【手続補正書】

【提出日】令和1年11月26日(2019.11.26)

【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】

二本鎖構造を含む核酸分子であって、

前記核酸分子はヒトN o t c h 1 遺伝子の翻訳後サイレンシングを起こすことが可能であり、

前記二本鎖構造は、第一の鎖および第二の鎖により形成され、

前記の第一の鎖は、連続したヌクレオチドの第一のストレッチを含み、ここで、前記連続したヌクレオチドの第一のストレッチのみがヒトN o t c h 1 遺伝子をコードするm R N Aに相補であり、前記の第二の鎖は、連続したヌクレオチドの第二のストレッチを含み、

前記連続したヌクレオチドの第一のストレッチは、

(a) ヌクレオチド配列5' ACGAGCUGGACCAUCUGGU 3' (配列番号1)または
(b) ヌクレオチド配列5' CGAGCUGGACCAUCUGGU 3' (配列番号8)

からなる、

核酸分子。

【請求項2】

請求項 1 に記載の核酸分子であって、
前記連続したヌクレオチドの第二のストレッチは、前記連続したヌクレオチドの第一のストレッチの一部と少なくとも部分的に相補である、
核酸分子。

【請求項 3】

請求項 1 または 2 に記載の核酸分子であって、
前記連続したヌクレオチドの第一のストレッチは、19～25ヌクレオチドを含む、および／または
前記連続したヌクレオチドの第二のストレッチは、13～29ヌクレオチドを含む、
核酸分子。

【請求項 4】

請求項 3 に記載の核酸分子であって、
前記連続したヌクレオチドの第一のストレッチは、19～23ヌクレオチドを含む、および／または
前記連続したヌクレオチドの第二のストレッチは、17～25または19～25ヌクレオチドを含む、
核酸分子。

【請求項 5】

請求項 4 に記載の核酸分子であって、
前記連続したヌクレオチドの第二のストレッチは、19～23ヌクレオチドを含む、
核酸分子。

【請求項 6】

請求項 1 から 5 のいずれか 1 項に記載の核酸分子であって、
前記核酸分子は、少なくとも一方の末端が平滑末端化されているか、または
前記核酸分子は、少なくとも一方の末端が突出している、
核酸分子。

【請求項 7】

請求項 1 から 6 のいずれか 1 項に記載の核酸分子であって、
前記第一の鎖は、
(i) ヌクレオチド配列 5' ACGAGCUGGACCACUGGUdTdT 3' (配列番号 4) または
(ii) ヌクレオチド配列 5' CGAGCUGGACCACUGGUdTdT 3' (配列番号 10)
を含む、
核酸分子。

【請求項 8】

請求項 1 から 7 のいずれか 1 項に記載の核酸分子であって、
前記連続したヌクレオチドの第二のストレッチは、
(i) ヌクレオチド配列 5' GACCAGUGGUCCAGCUCGUdTdT 3' (配列番号 5) または
(ii) ヌクレオチド配列 5' ACCAGUGGUCCAGCUCGdTdT 3' (配列番号 11)
を含む、
核酸分子。

【請求項 9】

請求項 1 から 8 のいずれか 1 項に記載の核酸分子であって、
前記連続したヌクレオチドの第一のストレッチを形成する 1 つまたは複数のヌクレオチドが修飾されている、および／または
前記連続したヌクレオチドの第二のストレッチを形成する 1 つまたは複数のヌクレオチドが修飾されている、
核酸分子。

【請求項 10】

請求項 9 に記載の核酸分子であって、
前記 1 つまたは複数のヌクレオチドの修飾が、前記 1 つまたは複数のヌクレオチドの糖

部分の修飾および／または前記1つまたは複数のヌクレオチドのリン酸部分の修飾である
、
核酸分子。

【請求項11】

請求項10に記載の核酸分子であって、
前記糖部分の修飾が、2' O - メチルおよび2' - Fを含む群から選択される、
核酸分子。

【請求項12】

請求項10または11に記載の核酸分子であって、
前記リン酸部分の修飾が、ホスホロチオエート結合が2個のヌクレオチドの間で形成さ
れるものである、
核酸分子。

【請求項13】

疾患の治療および／もしくは予防のためのまたは癌細胞の薬物感受性を回復させるため
の医薬の製造のための、請求項1から12のいずれか1項に記載の核酸分子の使用。

【請求項14】

不連続相および連続的な水相、ならびに請求項1から12のいずれか1項に記載の核酸
分子を含むナノエマルション。

【請求項15】

疾患の治療および／もしくは予防のためのまたは癌細胞の薬物感受性を回復させるため
の医薬の製造のための、請求項14に記載のナノエマルションの使用。

【請求項16】

請求項1から12のいずれか1項に記載の核酸分子、および／または請求項14に記載
のナノエマルション、および薬学的に許容できる賦形剤を含む医薬組成物。