

【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' ACGAGCUGGACACUGGUC 3' (配列番号 1) または

(b) ヌクレオチド配列 5' CGAGCUGGACACUGGU 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' ACGAGCUGGACCACUGGUCdTdT 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 1 1】

請求項 1 0 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 1 2】

請求項 1 0 または 1 1 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 1 3】

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 1 2 のいずれか 1 項に記載の核酸分子の使用。

【請求項 1 4】

不連続相および連続的な水相、ならびに請求項 1 から 1 2 のいずれか 1 項に記載の核酸分子を含むナノエマルジョン。

【請求項 1 5】

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 4 に記載のナノエマルジョンの使用。

【請求項 1 6】

請求項 1 から 1 2 のいずれか 1 項に記載の核酸分子、および／または請求項 1 4 に記載のナノエマルジョン、および薬学的に許容できる賦形剤を含む医薬組成物。