

【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7年3月27日(2025.3.27)

【公開番号】特開2025-818(P2025-818A)

【公開日】令和7年1月7日(2025.1.7)

【年通号数】公開公報(特許)2025-002

【出願番号】特願2024-169131(P2024-169131)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

A 6 1 K 9/51(2006.01)

A 6 1 P 21/00(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

C 0 7 K 16/28(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

A 6 1 K 9/51

A 6 1 P 21/00

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 48/00

C 1 2 N 15/113 Z

C 0 7 K 16/28

20

【手続補正書】

【提出日】令和7年3月17日(2025.3.17)

【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】

パッセンジャー鎖およびガイド鎖を含む低分子干渉RNA(s i RNA)分子であって、前記s i RNA分子が、ヒトDMPK mRNAの標的配列にハイブリダイズし、前記ガイド鎖が、SEQ ID NO:13463、14048、14047、14049、14146、14072、13478、14147、12234、14199からなる群から選択される核酸配列を含む、s i RNA分子。

【請求項2】

前記ガイド鎖が、SEQ ID NO:13463またはSEQ ID NO:14048を含む核酸配列を含む、請求項1に記載のs i RNA分子。

40

【請求項3】

前記パッセンジャー鎖または前記ガイド鎖が、独立して、少なくとも1つの2'修飾ヌクレオチド、少なくとも1つの修飾されたヌクレオチド間結合、または少なくとも1つの逆脱塩基部分を含む、請求項1または請求項2に記載のs i RNA分子。

【請求項4】

前記少なくとも1つの2'修飾ヌクレオチドが、2'-O-メチル、2'-O-メトキシエチル(2'-O-MOE)、2'-O-アミノプロピル、2'-デオキシ、2'-デオキシ-2'-フルオロ、2'-O-アミノプロピル(2'-O-AP)、2'-O-ジメチルアミノエチル(2'-O-DMAOE)、2'-O-ジメチルアミノプロピル(2'-O-DMA

50

P)、2'-O-ジメチルアミノエチルオキシエチル(2'-O-DMAEOE)、もしくは2'-O-N-メチルアセトアミド(2'-O-NMA)修飾ヌクレオチドを含むか、ロックド核酸(LNA)もしくはエチレン核酸(ENA)を含むか、またはそれらの組み合わせを含む、請求項3に記載のsiRNA分子。

【請求項5】

前記siRNA分子が、2'-O-メチル修飾ヌクレオチドおよび2'-デオキシ-2'-フルオロ修飾ヌクレオチドから選択される3つ以上の2'修飾ヌクレオチドを含む、請求項3に記載のsiRNA分子。

【請求項6】

前記少なくとも1つの修飾されたヌクレオチド間結合が、ホスホロチオエート結合またはホスホロジチオエート結合を含む、請求項3に記載のsiRNA分子。 10

【請求項7】

低分子干渉RNA(siRNA)分子に結合した抗トランスフェリン受容体抗体またはその抗原結合フラグメントを含むsiRNA抱合体であって、前記siRNA分子が、ヒトDMPK mRNA(NM_001288766.1)の標的配列の1945位から2699位にハイブリダイズする、siRNA抱合体。

【請求項8】

前記siRNA分子が、ヒトDMPK mRNAの標的配列の1945位から1979位にハイブリダイズする、請求項7に記載のsiRNA抱合体。

【請求項9】

前記パッセンジャー鎖および前記ガイド鎖が、それぞれ独立して、少なくとも1つの2'修飾ヌクレオチド、少なくとも1つの修飾されたヌクレオチド間結合、または少なくとも1つの逆脱塩基部分を含む、請求項7または8に記載のsiRNA抱合体。 20

【請求項10】

前記少なくとも1つの2'修飾ヌクレオチドが、2'-O-メチル、2'-O-メトキシエチル(2'-O-MOE)、2'-デオキシ、2'-デオキシ-2'-フルオロ、2'-O-アミノプロピル(2'-O-AP)、2'-O-ジメチルアミノエチル(2'-O-DMAOE)、2'-O-ジメチルアミノプロピル(2'-O-DMAP)、2'-O-ジメチルアミノエチルオキシエチル(2'-O-DMAEOE)、2'-O-N-メチルアセトアミド(2'-O-NMA)修飾ヌクレオチド、ロックド核酸(LNA)、またはエチレン核酸(ENA)を含む、請求項9に記載のsiRNA抱合体。 30

【請求項11】

前記siRNA抱合体が、1~4の薬物対抗体比を有する、請求項7~10のいずれか一項に記載のsiRNA抱合体。

【請求項12】

前記siRNA抱合体が、前記抗トランスフェリン受容体抗体を前記siRNAに接続するリンカーを含む、請求項7~11のいずれか一項に記載のsiRNA抱合体。

【請求項13】

前記リンカーが非ポリマーリンカーである、請求項12に記載のsiRNA抱合体。