

【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 7 日(2025.3.7)

【公開番号】特開 2024-88642(P2024-88642A)
【公開日】令和 6 年 7 月 2 日(2024.7.2)
【年通号数】公開公報(特許)2024-122
【出願番号】特願 2024-37589(P2024-37589)
【国際特許分類】

C 1 2 N 15/09(2006.01)

10

C 1 2 N 15/113(2010.01)

【F I】

C 1 2 N 15/09 1 1 0

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

【手続補正書】

【提出日】令和 7 年 2 月 26 日(2025.2.26)

【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

20

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

対象の細胞内のゲノム配列を改変するための一本鎖編集オリゴヌクレオチドを含む組成物であって、該編集オリゴヌクレオチドは、5' から 3' への順序で、

5' 末端セグメント；

5' 近位セグメント；

5' 編集セグメント；

編集部位；

30

3' 編集セグメント；

3' 近位セグメント；及び

3' 末端セグメント、

を含み、該編集オリゴヌクレオチドは以下に示される、化学修飾を含む：

a) 前記編集オリゴヌクレオチドは、送連接合体をさらに含む；

b) 前記 5' 末端セグメントは、骨格修飾及び任意選択で核酸塩基修飾を含む；

c) 前記 5' 近位セグメント及び / 又は 5' 編集セグメントは、任意に、骨格修飾、核酸塩基修飾及び / 又は糖修飾を含む；

d) 前記編集部位は、ゲノム配列を改変するためのミスマッチを含み、ここで、該編集部位は、2' 糖修飾から選択される糖修飾及びロックド核酸(LNA)を含む；ならびに

40

e) 前記 3' 近位セグメント及び / 又は 3' 編集セグメントは、任意に、骨格修飾、核酸塩基修飾及び / 又は糖修飾を含む；そして

f) 前記 3' 末端セグメントは骨格修飾を含み、該 3' 末端セグメント任意に核酸塩基修飾を含む。

【請求項 2】

編集オリゴヌクレオチド中のすべてのヌクレオチドが化学修飾されているわけではない、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

骨格修飾が、ホスホロチオエート修飾以外の修飾である、請求項 1 又は 2 に記載の組成物。

50

【請求項 4】

5'近位セグメント及び/又は5'編集セグメントにおける糖修飾が、2'糖修飾又はロックス核酸(LNA)である、請求項1~3のいずれかに記載の組成物。

【請求項 5】

3'近位セグメント及び/又は3'編集セグメントにおける糖修飾が、2'糖修飾又はロックス核酸(LNA)である、請求項1~4のいずれかに記載の組成物。

【請求項 6】

5'編集セグメントが、LNAをさら含む、請求項1~5のいずれかに記載の組成物。

【請求項 7】

5'近位セグメント及び/又は5'編集セグメントが、5-メチルシトシン、LNA、2'-F糖及び2'-OMe糖の1つ又は2つ以上を含む、請求項1~6のいずれかに記載の組成物。

【請求項 8】

編集セグメントが、2'-F糖又は2'-OMe糖を含む、請求項1~7のいずれかに記載の組成物。

【請求項 9】

編集セグメントがLNAを含む、請求項1~8のいずれかに記載の組成物。

【請求項 10】

3'近位セグメント及び/又は3'編集セグメントが、5-メチルシトシン及び2'-F糖の1つ又は2つ以上を含む請求項1~9のいずれかに記載の組成物。

20

【請求項 11】

3'末端セグメントがLNAをさらに含む、請求項1~10のいずれかに記載の組成物。

【請求項 12】

3'末端セグメントが5-メチルシトシンを含む、請求項1~11のいずれかに記載の組成物。

【請求項 13】

送達接合体が、コレステロール、親油性接合体、又は負電荷部分の形態である、請求項1~12のいずれかに記載の組成物。

【請求項 14】

負電荷部分が、スルフェート、フコース又はシアル酸である、請求項13に記載の組成物。

30

【請求項 15】

送達接合体が、Gal-Nac、glp-1、ポリエチレングリコール(PEG)、ヘマグルチニン、ノイラミニダーゼ又はエンドセリンである、請求項1~12のいずれかに記載の組成物。

40

50