

【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 12 N 15/09 (2006.01)

10

C 12 N 15/113 (2010.01)

【F I】

C 12 N 15/09 110

C 12 N 15/113 ZZNA

【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；

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、

30

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、送達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ド核酸(LNA)を含む；ならびに

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' 糖修飾又は口
ックド核酸 (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' 糖修飾又は口
ックド核酸 (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。 10

【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。