

【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 5 年 2 月 7 日(2023.2.7)

【公開番号】特開 2023-15095(P2023-15095A)  
【公開日】令和 5 年 1 月 31 日(2023.1.31)  
【年通号数】公開公報(特許)2023-019  
【出願番号】特願 2022-168607(P2022-168607)  
【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00(2006.01)  
A 6 1 K 31/7088(2006.01)  
A 6 1 P 21/04(2006.01)  
A 6 1 P 21/00(2006.01)  
A 6 1 P 25/14(2006.01)  
A 6 1 P 35/00(2006.01)  
A 6 1 P 9/00(2006.01)  
C 1 2 N 15/113(2010.01)  
C 0 7 K 16/28(2006.01)

10

【F I】

A 6 1 K 48/00                      Z N A  
A 6 1 K 31/7088  
A 6 1 P 21/04  
A 6 1 P 21/00  
A 6 1 P 25/14  
A 6 1 P 35/00  
A 6 1 P 9/00  
C 1 2 N 15/113                      Z  
C 0 7 K 16/28

20

【手続補正書】

30

【提出日】令和 5 年 1 月 27 日(2023.1.27)

【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】

エクソンスキッピングを誘導する医薬組成物の製造におけるホスホロジアミデートモルホリノオリゴマー（PMO）抱合体の使用であって、ここで前記 PMO 抱合体は、抗トランスフェリン受容体抗体またはその結合フラグメントに抱合された PMO であり、

40

ここで前記 PMO は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）遺伝子における mRNA 前駆体の受容体スプライス部位、供与体スプライス部位、またはエクソンスプライスエンハンサー因子を標的とし、

前記 PMO は、mRNA 転写産物を生成するために、エクソンのスプライシングを誘発し、

前記 mRNA 転写産物は、切断されたジストロフィンタンパク質をコードする、使用。

【請求項 2】

前記 PMO は、DMD 遺伝子におけるエクソン 8、23、35、43、44、45、50、51、52、53、または 55 のスキップを誘導する、請求項 1 に記載の使用。

50

## 【請求項 3】

前記抗トランスフェリン受容体抗体またはその結合フラグメントは、ヒト化抗体あるいはその結合フラグメント、キメラ抗体あるいはその結合フラグメント、モノクローナル抗体あるいはその結合フラグメント、一価 Fab'、二価 Fab2、単鎖可変フラグメント (scFv)、ダイアボディ、ミニボディ、ナノボディ、単ドメイン抗体 (sdAb)、またはラクダ科抗体あるいはその結合フラグメントを含む、請求項 1 に記載の使用。

## 【請求項 4】

前記 PMO は、少なくとも約 10 から約 30 ヌクレオチド長さを含む、請求項 1 に記載の使用。

## 【請求項 5】

前記 PMO は、配列番号 225 - 227、252 - 263、268 - 272、352 - 427、768 - 827、および 939 - 972 から選択された配列と少なくとも 90%、95%、99%、あるいは 100% の配列同一性を有する配列を含む、請求項 1 に記載の使用。

10

## 【請求項 6】

前記 PMO は、配列番号 352 - 427、および 768 - 827 から選択された配列と少なくとも 90%、95%、99%、あるいは 100% の配列同一性を有する配列を含む、請求項 1 に記載の使用。

## 【請求項 7】

前記 PMO は、リンカーを介して抗体またはその結合フラグメントに抱合される、請求項 1 に記載の使用。

20

## 【請求項 8】

前記リンカーは、切断リンカーである、請求項 7 に記載の使用。

## 【請求項 9】

前記リンカーは、非ポリマーリンカーである、請求項 7 に記載の使用。

## 【請求項 10】

前記リンカーは、ヘテロ二機能性リンカー、ホモ二機能性リンカー、マレイミド基、ジペプチド部分、安息香酸基あるいはその誘導体、C<sub>1</sub> - C<sub>6</sub> アルキル基、またはそれらの組合せからなる群から選択される、請求項 7 に記載の使用。

## 【請求項 11】

前記 PMO 抱合体は、約 1 対 1、約 2 対 1、約 3 対 1、または約 4 対 1 の、PMO と抗体の比率を有する、請求項 1 に記載の使用。

30

## 【請求項 12】

前記 PMO は、配列番号 59 にハイブリダイズする配列と少なくとも 90%、95%、99%、あるいは 100% の配列同一性を有する配列を含む、請求項 1 に記載の使用。

40

50