

【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5年3月14日(2023.3.14)

【公開番号】特開2022-180420(P2022-180420A)
 【公開日】令和4年12月6日(2022.12.6)
 【年通号数】公開公報(特許)2022-224
 【出願番号】特願2022-141656(P2022-141656)
 【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)
 A 6 1 P 21/04(2006.01)
 A 6 1 K 48/00(2006.01)
 A 6 1 K 31/7088(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A
 A 6 1 P 21/04
 A 6 1 K 48/00
 A 6 1 K 31/7088

【手続補正書】

20

【提出日】令和5年3月6日(2023.3.6)

【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】

配列番号7、8、10、16、21、24、31、42、67及び76のいずれかの塩基配列からなるアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

30

【請求項2】

前記アンチセンスオリゴマーが、配列番号16、21及び42のいずれかの塩基配列からなるアンチセンスオリゴマーである、請求項1に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

【請求項3】

オリゴヌクレオチドである、請求項1または2に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

【請求項4】

前記オリゴヌクレオチドを構成する少なくとも1つのヌクレオチドの糖部分及び/又はリン酸結合部分が修飾されている、請求項3に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

40

【請求項5】

前記オリゴヌクレオチドを構成する少なくとも1つのヌクレオチドの糖部分は、2'位の-OH基が、OR、R、R'OR、SH、SR、NH₂、NHR、NR₂、N₃、CN、F、Cl、Br及びIからなる群より選択されるいずれかの基(上記Rは、アルキル又はアリールを示し、上記R'は、アルキレンを示す。)で置換されたりボースである、請求項3または4に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

【請求項6】

50

前記オリゴヌクレオチドを構成する少なくとも1つのヌクレオチドのリン酸結合部分が、ホスホロチオエート結合、ホスホロジチオエート結合、アルキルホスホネート結合、ホスホロアミデート結合、及びボラノフォスフェート結合からなる群から選択されるいずれか1つのものである、請求項3~5のいずれか1項に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

【請求項7】

モルホリノオリゴマーである、請求項1または2に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

【請求項8】

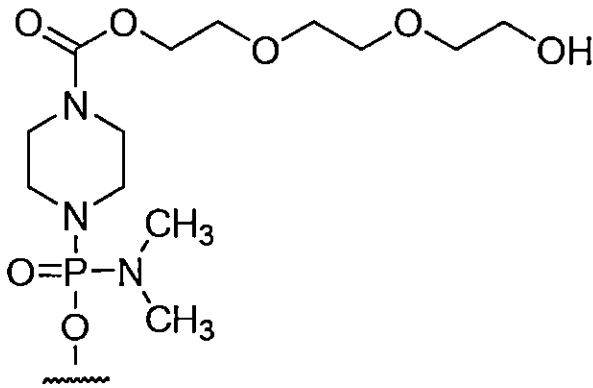
ホスホロジアミデートモルホリノオリゴマーである、請求項7に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

10

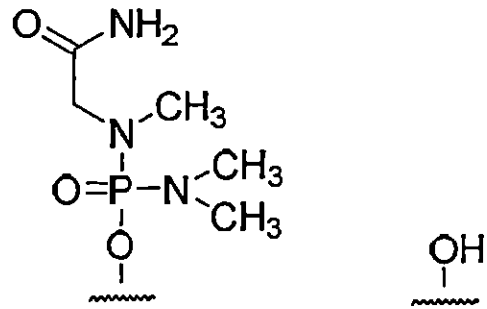
【請求項9】

5'末端が、下記化学式(1)~(3)：

【化1】



(1)



(2)



(3)

20

30

のいずれかの基である、請求項7または8に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物。

【請求項10】

請求項1~9のいずれか1項に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物を含む、筋ジストロフィー治療用医薬組成物。

【請求項11】

さらに医薬的に許容可能な担体、添加剤または水性溶媒を含む、請求項10に記載の医薬組成物。

【請求項12】

筋ジストロフィー患者に投与するための請求項10または11に記載の医薬組成物であって、前記患者が、ジストロフィン遺伝子にエクソン51のスキッピングの対象となる変異を有する患者である、医薬組成物。

40

【請求項13】

前記患者が、少なくともエクソン51近傍のエクソンの欠失によるフレームシフト突然変異を有するとともにエクソン51のスキッピングによりアミノ酸の読み取り枠が修正されるジストロフィン遺伝子を有する、請求項12に記載の医薬組成物。

【請求項14】

前記患者が、ジストロフィン遺伝子にエクソン13-50、29-50、40-50、43-50、45-50、47-50、48-50、49-50、50、52、52-63の欠失によるフレームシフト突然変異を有する、請求項12または13に記載の医薬組

50

成物。

【請求項 15】

前記患者がヒトである、請求項 12 ~ 14 のいずれか 1 項に記載の医薬組成物。

【請求項 16】

筋ジストロフィー治療用医薬の製造における請求項 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載のアンチセンスオリゴマーもしくはその医薬的に許容可能な塩またはそれらの水和物の使用。

10

20

30

40

50