

【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 3 年 9 月 16 日 (2021.9.16)

【公表番号】特表 2020-530459 (P2020-530459A)

【公表日】令和 2 年 10 月 22 日 (2020.10.22)

【年通号数】公開・登録公報 2020-043

【出願番号】特願 2020-506984 (P2020-506984)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/517 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/517 Z N A

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 27/02

C 1 2 N 15/12

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 8 月 6 日 (2021.8.6)

【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

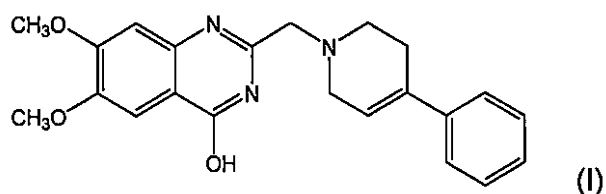
【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

網膜における桿体遺伝子の発現を減少させるための方法 において使用するための、式 (I) :

【化 1】



の化合物または製薬学的に許容されるその塩であって、前記方法は網膜を前記化合物と接触させる工程を含む。

【請求項 2】

前記桿体遺伝子は N r 1、N r 2 e 3、R h o、および G n a t 1 からなる群より選択される、請求項 1 に記載の 使用のための式 (I) の化合物。

【請求項 3】

網膜を接触させる前記工程は、全身投与または硝子体内注射を含む、請求項 1 に記載の 使用のための式 (I) の化合物。

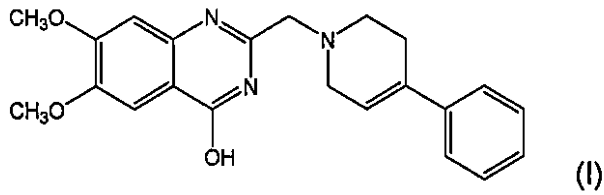
【請求項 4】

前記網膜は、人間である対象の網膜である、請求項 1 に記載の 使用のための式 (I) の化合物。

【請求項 5】

網膜における桿体遺伝子の発現を減少させることにより処置可能な疾患または状態を処置するための方法 において使用するための、治療的有効量の式 (I) :

【化 2】



の化合物または製薬学的に許容されるその塩。

【請求項 6】

前記疾患または状態は、網膜色素変性、網膜変性、黄斑変性、加齢黄斑変性、スタルガルト型黄斑ジストロフィ (Stargardt's macular dystrophy)、網膜ジストロフィ、ソースビー型眼底ジストロフィ (Sorsby's fundus dystrophy)、糖尿病性網膜症、糖尿病性黄斑症、未熟児網膜症、および虚血再灌流関連網膜損傷からなる群より選択される、請求項 5 に記載の 使用のための治療的有効量の式 (I) の化合物。

【請求項 7】

前記網膜の疾患は網膜色素変性である、請求項 5 に記載の 使用のための治療的有効量の式 (I) の化合物。

【請求項 8】

前記化合物を投与する工程は、全身投与または硝子体内注射を含む、請求項 5 に記載の 使用のための治療的有効量の式 (I) の化合物。

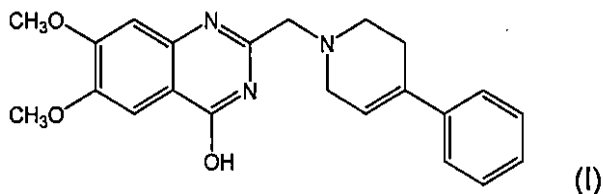
【請求項 9】

前記対象は人間である、請求項 5 に記載の 使用のための治療的有効量の式 (I) の化合物。

【請求項 10】

網膜におけるロドプシンの発現を減少させるための方法 において使用するための、式 (I) :

【化 3】



の化合物または製薬学的に許容されるその塩。

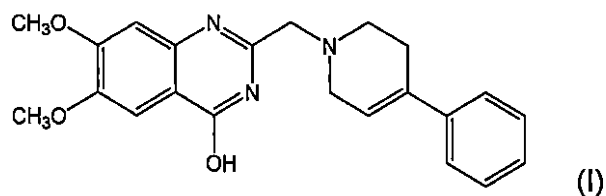
【請求項 11】

前記網膜は、人間である対象の網膜である、請求項 10 に記載の 使用のための式 (I) の化合物。

【請求項 12】

対象における網膜の疾患を処置する方法 において使用するための、治療的有効量の式 (I) :

## 【化 4】



の化合物または製薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 1 3】

前記網膜の疾患は、網膜色素変性、網膜変性、黄斑変性、加齢黄斑変性、スタルガルト型黄斑ジストロフィ、網膜ジストロフィ、ソースビー型眼底ジストロフィ、糖尿病性網膜症、糖尿病性黄斑症、未熟児網膜症、および虚血再灌流関連網膜損傷からなる群より選択される、請求項 1 2 に記載の使用のための式 (I) の化合物。

## 【請求項 1 4】

前記網膜の疾患は網膜色素変性である、請求項 1 2 に記載の使用のための式 (I) の化合物。

## 【請求項 1 5】

前記対象は人間である、または、前記化合物が全身投与もしくは硝子体内注射によって投与される、請求項 1 2 に記載の使用のための式 (I) の化合物。