【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7年1月7日(2025.1.7)

【国際公開番号】WO2022/138787
【出願番号】特願2022-571599(P2022-571599)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ 31/712(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/7125(2006.01)
Ａ６１Ｋ 48/00(2006.01)
Ａ６１Ｐ 21/00(2006.01)
Ａ６１Ｋ 47/42(2017.01)
Ａ６１Ｋ 47/64(2017.01)
Ａ６１Ｋ 47/34(2017.01)
Ａ６１Ｋ 47/36(2006.01)
Ａ６１Ｋ 47/24(2006.01)
Ａ６１Ｋ 47/54(2017.01)
Ａ６１Ｋ 47/56(2017.01)
Ａ６１Ｋ 47/61(2017.01)
Ｃ１２Ｎ 15/87(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/113(2010.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ 31/712 ＺＮＡ
Ａ６１Ｋ 31/7125
Ａ６１Ｋ 48/00
Ａ６１Ｐ 21/00
Ａ６１Ｋ 47/42
Ａ６１Ｋ 47/64
Ａ６１Ｋ 47/34
Ａ６１Ｋ 47/36
Ａ６１Ｋ 47/24
Ａ６１Ｋ 47/54
Ａ６１Ｋ 47/56
Ａ６１Ｋ 47/61
Ｃ１２Ｎ 15/87 Ｚ
Ｃ１２Ｎ 15/113 Ｚ

【手続補正書】
【提出日】令和6年12月23日(2024.12.23)
【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】
５’末端から３’末端に、シトシン－アデニン－グアニンのトリヌクレオチドが５～１３回繰り返す反復配列を含むオリゴヌクレオチドであって、
全てのシチジンがβ－Ｄ－ＥＮＡ－シチジンであり、全てのアデノシンが２’－ＯＭｅ－アデノシンであり、全てのグアノシンが２’－ＯＭｅ－グアノシンであるミックスマー構

造を有する、オリゴヌクレオチド。
【請求項２】
前記オリゴヌクレオチドは、
（１）配列番号１～９のいずれかの塩基配列からなるオリゴヌクレオチド、
（２）５’末端から３’末端に、アデニン－グアニンと、配列番号１～９のいずれかの塩基配列と、シトシンとからなる塩基配列からなるオリゴヌクレオチド、又は、
（３）５’末端から３’末端に、グアニンと、配列番号１～９のいずれかの塩基配列と、シトシン－アデニンとからなる塩基配列からなるオリゴヌクレオチド
である、請求項１に記載のオリゴヌクレオチド。
【請求項３】
前記オリゴヌクレオチドは、ホスホロチオアート、ホスホロジチオアート及びボラノホスフェートからなる群より選択される少なくとも１種類のヌクレオチド連結を含む、請求項１又は２に記載のオリゴヌクレオチド。
【請求項４】
請求項１ないし３のいずれか１項に記載のオリゴヌクレオチド、及び薬学的に許容可能な担体又は希釈剤を含む、医薬組成物。
【請求項５】
前記担体は細胞膜透過用担体及び／又は核内送達用担体を含む、請求項４に記載の医薬組成物。
【請求項６】
経皮投与、眼球内投与、水晶体内投与、消化管粘膜内投与、消化管粘膜下投与、皮下投与、静脈内投与、動脈内投与、筋肉内投与、腹腔内投与、頭蓋内投与及び髄腔内投与からなる群より選択される非経口的投与によって送達される、請求項４又は５に記載の医薬組成物。
【請求項７】
ＣＵＧリピート伸長に起因するトリプレット病の治療のための、請求項４ないし６のいずれか１項に記載の医薬組成物。
【請求項８】
前記トリプレット病が筋強直性ジストロフィー１型疾患である、請求項７に記載の医薬組成物。