

【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 1 年 9 月 12 日 (2019.9.12)

【公表番号】特表 2018-519818 (P2018-519818A)

【公表日】平成 30 年 7 月 26 日 (2018.7.26)

【年通号数】公開・登録公報 2018-028

【出願番号】特願 2017-566354 (P2017-566354)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/88 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 P 11/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 31/04 (2006.01)

A 6 1 P 31/12 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 37/02 (2006.01)

A 6 1 K 9/14 (2006.01)

A 6 1 K 9/08 (2006.01)

A 6 1 K 9/12 (2006.01)

A 6 1 K 47/28 (2006.01)

A 6 1 K 47/22 (2006.01)

A 6 1 K 47/24 (2006.01)

A 6 1 K 47/18 (2006.01)

A 6 1 K 47/10 (2006.01)

【 F I 】

C 1 2 N 15/88 Z N A Z

C 1 2 N 15/113 Z

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 11/00

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 31/04

A 6 1 P 31/12

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 37/02

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 9/14

A 6 1 K 9/08

A 6 1 K 9/12

A 6 1 K 47/28

A 6 1 K 47/22

A 6 1 K 47/24

A 6 1 K 47/18

A 6 1 K 47/10

## 【手続補正書】

【提出日】令和1年7月31日(2019.7.31)

## 【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】

脂質粒子と複合体化された核酸化合物、又は脂質粒子に封入された核酸化合物、を含む組成物であって、前記脂質粒子が：

(a) 前記組成物中に存在する総脂質の約50モル%～約60モル%を含むカチオン性脂質；

(b) 前記組成物中に存在する総脂質の約40モル%～約50モル%を含む中性脂質；及び

(c) 前記組成物中に存在する総脂質の約1モル%～約1.5モル%を含む複合脂質、を含む、組成物。

## 【請求項 2】

前記カチオン性脂質が、1,2-ジオレオイル-3-ジメチルアンモニウム-プロパン(DODAP)を含む、請求項 1 に記載の組成物。

## 【請求項 3】

前記中性脂質が、1つ以上の中性脂質の混合物を含有む、請求項 1 又は 2 に記載の組成物。

## 【請求項 4】

前記中性脂質が、リン脂質と、コレステロール又はトコフェロール又はそれらの誘導体との混合物を含む、請求項 3 に記載の組成物。

## 【請求項 5】

前記リン脂質が1,2-ジステアロイル-sn-グリセロ-3-ホスホコリン(DSPC)である、請求項 4 に記載の組成物。

## 【請求項 6】

前記コレステロール誘導体がコレステロールヘミスクシナート(CHEMS)であり、又は前記トコフェロール誘導体が、トコフェロールヘミスクシナート(THS)である、請求項 4 又は 5 に記載の組成物。

## 【請求項 7】

前記複合脂質が1,2-ジミリストイル-sn-グリセロール-ポリエチレングリコール2000(DMG-PEG2000)を含む、請求項 1～6 のいずれか 1 項に記載の組成物。

## 【請求項 8】

前記核酸化合物が、RNA干渉(RNAi)化合物である、請求項 1～7 のいずれか 1 項に記載の組成物。

## 【請求項 9】

前記RNAi化合物が、COL1A1、アネキシンA11(ANXA11)、又はP4HA1をコードするメッセージRNA(mRNA)を標的とする、請求項 8 に記載の組成物。

## 【請求項 10】

前記RNAi化合物が、COL1A1又はANXA11をコードするメッセージRNA(mRNA)を標的とし、前記脂質粒子が(a) 57.1モル%のDODAPと、(b) 7.1モル%のDSPCと34.3モル%のCHEMSの混合物と、(c) 1.5モル%のDMG-PEG2000とを含む、請求項 9 に記載の組成物。

## 【請求項 11】

前記RNAi化合物が、COL1A1をコードするメッセージRNA(mRNA)を標的とし、前記脂質粒子が(a) 50モル%のDODAPと、(b) 4モル%のDSPCと45モル%のCHEMSの混合物と、(c) 1モル%のDMG-PEG2000とを含む、請求項 9 に記載の組成物。

## 【請求項 12】

前記RNAi化合物が、ANXA11又はP4HA1をコードするメッセンジャーRNA ( mRNA ) を標的とし、前記脂質粒子が ( a ) 57.1モル % のDODAPと、 ( b ) 7.1モル % のDSPCと34.3モル % のTHSの混合物と、 ( c ) 1.5モル % のDMG-PEG2000とを含む、請求項 9 に記載の組成物。

**【請求項 1 3】**

前記RNAi化合物が、COL1A1をコードするメッセンジャーRNA ( mRNA ) を標的とし、前記脂質粒子が ( a ) 50モル % のDODAPと、 ( b ) 4モル % のDSPCと45モル % のTHSの混合物と、 ( c ) 1モル % のDMG-PEG2000とを含む、請求項 9 に記載の組成物。

**【請求項 1 4】**

肺線維症又はサルコイドーシスの治療が必要な患者における肺線維症又はサルコイドーシスを治療するための、請求項 1 ~ 1 3 のいずれか 1 項に記載の組成物。

**【請求項 1 5】**

請求項 1 4 に記載の肺線維症又はサルコイドーシスを治療するための組成物であって、有効量の前記組成物が吸入を介して前記患者の肺に投与される、組成物。