

【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ンジャー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13】**

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14】**

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1～13のいずれか1項に記載の組成物。

**【請求項15】**

請求項14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。