

【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】平成21年2月12日(2009.2.12)

【公表番号】特表2008-525460(P2008-525460A)

【公表日】平成20年7月17日(2008.7.17)

【年通号数】公開・登録公報2008-028

【出願番号】特願2007-548380(P2007-548380)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 27/06 (2006.01)

A 6 1 P 9/10 (2006.01)

A 6 1 P 17/02 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088 Z N A

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 27/06

A 6 1 P 9/10

A 6 1 P 17/02

【手続補正書】

【提出日】平成20年12月17日(2008.12.17)

【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】

被験体の眼における結合組織増殖因子mRNAの発現を減衰させるための組成物であつて、

長さ19～49個のヌクレオチドを有する干渉RNAの有効量及び
薬学的に許容される担体

を含み、

該組成物は、該被験体の眼に投与されるのに適しており、

該干渉RNAは、センスヌクレオチド配列、アンチセンスヌクレオチド配列、及び少なくとも19ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を含み；

該アンチセンス配列は、生理学的条件下で、配列番号1に対応するmRNAの部分にハイブリダイズし、かつ該アンチセンス配列は、配列番号1に対応するmRNAのハイブリダイズする部分と、少なくとも19ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を有し、

結合組織増殖因子mRNAの発現が減衰されることを特徴とする、組成物。

【請求項2】

前記被験体が結合組織増殖因子関連眼障害を有する、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記被験体が結合組織増殖因子関連眼障害を発症する危険性がある、請求項1に記載の組成物。

【請求項4】

前記結合組織増殖因子関連眼障害が、緑内障、黄斑変性、糖尿病網膜症、脈絡膜血管新

生、増殖性硝子体網膜症又は創傷治癒である、請求項2に記載の組成物。

【請求項5】

前記アンチセンス配列が、配列番号1に対応するmRNAのハイブリダイズする部分と少なくとも21~23ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を有し、該センス及び該アンチセンス配列それぞれの3'末端に追加のTT配列を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項6】

前記センスヌクレオチド配列及び前記アンチセンスヌクレオチド配列が、ループヌクレオチド配列により結合している、請求項1に記載の組成物。

【請求項7】

局所経路、硝子体内経路又は経強膜的経路を介して投与されることを特徴とする、請求項1に記載の組成物。

【請求項8】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド379、691、801、901、932、937、969、986、1119、1170、1201、1346、1473、1478、1481、1488、1626、1660又は1666から始まる配列番号1に対応するmRNAのヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項1に記載の組成物。

【請求項9】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド379、901又は1488から始まる配列番号1に対応するmRNAのヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項1に記載の組成物。

【請求項10】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド379、691、801、901、932、937、969、986、1119、1170、1201、1346、1473、1478、1481、1488、1626、1660又は1666を含む配列番号1に対応するmRNAのヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項1に記載の組成物。

【請求項11】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド379、901又は1488を含む配列番号1に対応するmRNAのヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項1に記載の組成物。

【請求項12】

前記アンチセンス配列が、
3' - T T c c c g u u u u u c a c g u a g g c a - 5' 配列番号33
を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項13】

前記アンチセンス配列が、
3' - T T c c c g g a g a a g a c a c u g a a g - 5' 配列番号31
を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項14】

前記アンチセンス配列が、
3' - T T c c a a u c a u a g u a g u c u a u c - 5' 配列番号28
を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項15】

前記干渉RNAが、
5' - g g g c c u c u u c u g u g a c u u c T T - 3' 配列番号30、及び
3' - T T c c c g g a g a a g a c a c u g a a g - 5' 配列番号31
を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項16】

前記干渉RNAが、

5' - g g g c a a a a a g u g c a u c c g u T T - 3'

配列番号32、及び

3' - T T c c c g u u u u c a c g u a g g c a - 5'

配列番号33

を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項17】

前記干渉RNAが、

5' - g g u u a g u a u c a u c a g a u a g T T - 3'

配列番号27、及び

3' - T T c c a a u c a u a g u a g u c u a u c - 5'

配列番号28

を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項18】

請求項1に記載の組成物であって、

該組成物は、更に第2干渉RNAを含み、該第2干渉RNAは、長さ19~49個のヌクレオチドを有し、かつセンスヌクレオチド配列、アンチセンスヌクレオチド配列、及び少なくとも19個のヌクレオチドの少なくともほぼ完全に相補的な領域を含み、

該第2干渉RNAのアンチセンス配列は、生理学的条件下で、配列番号1に対応するmRNAの第2部分にハイブリダイズし、該アンチセンス配列は、配列番号1に対応するmRNAの第2のハイブリダイズする部分と、少なくとも19ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を有する、

組成物。

【請求項19】

被験体の眼における結合組織増殖因子mRNAの発現を減衰させるための組成物であつて、

長さ19~49個のヌクレオチドを有する一本鎖干渉RNAの有効量及び

薬学的に許容される担体

を含み、

該一本鎖干渉RNAは、生理学的条件下で、ヌクレオチド379、691、801、901、932、937、969、986、1119、1170、1201、1346、1473、1478、1481、1488、1626、1660又は1666から始まる配列番号1に対応するmRNAの部分にハイブリダイズし、該干渉RNAは、配列番号1に対応するmRNAのハイブリダイズする部分とほぼ完全に相補的な領域を有し、

結合組織増殖因子mRNAの発現が減衰されることを特徴とする、組成物。

【請求項20】

治療を必要とする被験体における結合組織増殖因子関連眼障害を治療する薬剤の製造における組成物の使用であつて、

該組成物は、

長さ19~49個のヌクレオチドを有する干渉RNAの有効量及び

薬学的に許容される担体

を含み、該干渉RNAは、センスヌクレオチド配列、アンチセンスヌクレオチド配列、及び少なくとも19ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を含み、

該アンチセンス配列は、生理学的条件下で、配列番号1に対応するmRNAの部分にハイブリダイズし、かつ該アンチセンス配列は、配列番号1に対応するmRNAのハイブリダイズする部分と少なくとも19ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を有し、

該結合組織増殖因子関連眼障害が、緑内障、黄斑変性、糖尿病網膜症、脈絡膜血管新生又は異常創傷治癒である、使用。

【請求項21】

前記アンチセンス配列が、配列番号1に対応するmRNAのハイブリダイズする部分と少なくとも21~23ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を有し、前記センス配列及び該アンチセンス配列それぞれの3'末端に追加のTT配列を含む、請求項20に記載の使用。

【請求項 22】

前記センスヌクレオチド配列及び該アンチセンスヌクレオチド配列が、ループヌクレオチド配列により結合している、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 23】

前記組成物が局所経路、硝子体内経路、又は経強膜的経路を介する投与のために調製されることを特徴とする、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 24】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド 379、691、801、901、932、937、969、986、1119、1170、1201、1346、1473、1478、1481、1488、1626、1660 又は 1666 から始まる配列番号 1 に対応する mRNA のヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 25】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド 379、901 又は 1488 から始まる配列番号 1 に対応する mRNA のヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 26】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド 379、691、801、901、932、937、969、986、1119、1170、1201、1346、1473、1478、1481、1488、1626、1660 又は 1666 を含む配列番号 1 に対応する mRNA のヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 27】

前記アンチセンス配列が、ヌクレオチド 379、901 又は 1488 を含む配列番号 1 に対応する mRNA のヌクレオチド配列を標的にするように設計されている、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 28】

前記アンチセンス配列が、
3' - T T c c c g u u u u u c a c g u a g g c a - 5' 配列番号 33
を含む、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 29】

前記アンチセンス配列が、
3' - T T c c c g g a g a a g a c a c u g a a g - 5' 配列番号 31
を含む、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 30】

前記アンチセンス配列が、
3' - T T c c a a u c a u a g u a g u c u a u c - 5' 配列番号 28
を含む、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 31】

前記干渉 RNA が、
5' - g g g c c u c u u c u g u g a c u u c T T - 3' 配列番号 30、及び
3' - T T c c c g g a g a a g a c a c u g a a g - 5' 配列番号 31
を含む、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 32】

前記干渉 RNA が、
5' - g g g c a a a a a g u g c a u c c g u T T - 3' 配列番号 32、及び
3' - T T c c c g u u u u u c a c g u a g g c a - 5' 配列番号 33
を含む、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 33】

前記干渉 RNA が、

5' - g g u u a g u a u c a u c a g a u a g T T - 3' 配列番号 27、及び
3' - T T c c a a u c a u a g u a g u c u a u c - 5' 配列番号 28

を含む、請求項 20 に記載の方法。

【請求項 34】

請求項 20 に記載の使用であって、

前記組成物が更に第 2 干渉 R N A を含み、該第 2 干渉 R N A は、長さ 19 ~ 49 個のヌクレオチドを有し、かつセンスヌクレオチド配列、アンチセンスヌクレオチド配列、及び少なくとも 19 個のヌクレオチドの少なくともほぼ完全に相補的な領域を含み、

該第 2 干渉 R N A のアンチセンス配列は、生理学的条件下で、配列番号 1 に対応する m R N A の第 2 部分にハイブリダイズし、該アンチセンス配列は、配列番号 1 に対応する m R N A の第 2 のハイブリダイズする部分と、少なくとも 19 ヌクレオチド連続する少なくともほぼ完全に相補的な領域を有する、使用。

【請求項 35】

治療を必要とする被験体における結合組織増殖因子関連眼障害を治療する薬剤の製造における組成物の使用であって、該組成物は、

長さ 19 ~ 49 個のヌクレオチドを有する一本鎖干渉 R N A の有効量及び
薬学的に許容される担体
を含み、

該一本鎖干渉 R N A は、生理学的条件下で、ヌクレオチド 379、691、801、901、932、937、969、986、1119、1170、1201、1346、1473、1478、1481、1488、1626、1660 又は 1666 から始まる配列番号 1 に対応する m R N A の部分にハイブリダイズし、該干渉 R N A は、配列番号 1 に対応する m R N A のハイブリダイズする部分と少なくともほぼ完全に相補的な領域を有する、使用。