

【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】平成 19 年 2 月 8 日 (2007.2.8)

【公表番号】特表 2002-535015 (P2002-535015A)

【公表日】平成 14 年 10 月 22 日 (2002.10.22)

【出願番号】特願 2000-596368 (P2000-596368)

【国際特許分類】

C 1 2 Q 1/68 (2006.01)

A 6 1 K 49/00 (2006.01)

A 6 1 P 11/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/14 (2006.01)

A 6 1 P 31/12 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

C 1 2 Q 1/70 (2006.01)

G 0 1 N 33/53 (2006.01)

G 0 1 N 33/566 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

C 1 2 Q 1/68 A

A 6 1 K 49/00 Z

A 6 1 P 11/00

A 6 1 P 25/14

A 6 1 P 31/12

A 6 1 P 35/00

C 1 2 Q 1/70

G 0 1 N 33/53 M

G 0 1 N 33/566

C 1 2 N 15/00 Z N A A

C 1 2 N 15/00 A

【手続補正書】

【提出日】平成 18 年 12 月 11 日 (2006.12.11)

【手続補正 1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】特許請求の範囲

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】 被験体中の mRNA 配列をインピボで標的化するための組成物であって、該組成物は：

非荷電のリン含有骨格結合を有するヌクレアーゼ耐性モルホリノアンチセンス化合物を含み、ここで、該オリゴマーは、37 よりも実質的に高い Tm で、標的によってコードされる遺伝子産物の調節された発現をもたらすに有効な様式でワトソン - クリック塩基対合によって該標的 mRNA 中の領域にハイブリダイズし、該組成物は、経口投与に適している、組成物。

【請求項 2】 前記モルホリノアンチセンス化合物が約 8 ~ 40 塩基の長さを有する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】 前記モルホリノアンチセンス化合物が、選択された標的遺伝子の翻訳開始コドンに及ぶ領域に相補的である標的化塩基配列を含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 4】 前記アンチセンスオリゴマー骨格が、図 2 A - A ~ 2 E - E に示される構造からなる群より選択される構造を有する、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 5】 前記標的遺伝子が、増殖性障害に関連した遺伝子である、請求項 3 に記載の組成物。

【請求項 6】 前記増殖性障害が癌である、請求項 4 に記載の組成物。

【請求項 7】 前記モルホリノアンチセンス化合物が、配列番号 2 として同定される配列を含む、請求項 5 に記載の組成物。

【請求項 8】 被験体由来のサンプルにおいて、標的 R N A を含む塩基特異的な細胞内結合事象の出現を検出する方法であって、該被験体が：

____(i) ヒト c - m y c m R N A 遺伝子の開始コドンに及ぶ領域に相補的である標的化塩基配列を含む 8 ~ 4 0 ヌクレオチド、および (i i) 非荷電のリン含有サブユニット間結合を有する、モルホリノアンチセンス化合物を、3 7 よりも実質的に高い T m でのワトソン - クリック塩基対合による該標的 R N A の領域へのハイブリダイゼーションを減少させるのに有効な量で投与されており、

該方法は、該サンプル中で、アンチセンスオリゴマーおよび該標的 R N A 領域から構成されるヌクレアーゼ耐性ヘテロ二重鎖の存在を検出する工程、
を包含する、方法。

【請求項 9】 前記アンチセンスオリゴマーが、約 8 ~ 4 0 塩基の長さを有する、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 1 0】 前記投与が、経口投与による、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 1 1】 前記体液が尿である、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 1 2】 前記検出する工程が、前記サンプルを、前記ヘテロ二重鎖に対して特異的な抗体を用いて反応させ、そして該抗体 - ヘテロ二重鎖結合体の存在を検出することにより達成される、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 1 3】 前記アンチセンスオリゴマーが、レポーター部分を含み、そして前記検出する工程が、前記ヘテロ二重鎖に結合した該レポーター部分の存在を検出することにより達成される、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 1 4】 前記被験体における治療遺伝子に応答した標的遺伝子の発現における変化を検出する際に使用するための、請求項 8 に記載の方法であって、前記標的 R N A が、選択された遺伝子の発現によって生成される m R N A である、方法。

【請求項 1 5】 前記選択された遺伝子が、公知の疾患状態に関連した遺伝子である、請求項 8 に記載の方法。

【請求項 1 6】 公知の疾患状態に関連した複数の遺伝子変異のうちの 1 つを検出する際に使用するための、請求項 8 に記載の方法であって、前記投与する工程が、複数のアンチセンスオリゴマーを投与することを包含し、そして前記検出する工程が、前記ヘテロ二重鎖のヌクレオチド配列を決定することをさらに包含する、方法。

【請求項 1 7】 疑われるウイルスによる前記被験体の感染を検出する際に使用するための、請求項 8 に記載の方法であって、前記標的 R N A が、該ウイルスによる感染に特異的な R N A である、方法。

【請求項 1 8】 標的遺伝子の発現を調節する治療薬剤の有効性をモニタリングする際に使用するための、請求項 8 に記載の方法であって、該方法は、以下の工程：

(i) 治療薬剤が投与された被験体に関して請求項 8 に記載の方法を繰り返す工程；ならびに

(i i) 該治療薬剤を投与する前の体液サンプル中で検出されたヘテロ二重鎖の量を、該治療薬剤を投与した後のサンプル中で検出されたヘテロ二重鎖の量に対して比較する工程、
をさらに包含する、方法。

【請求項 1 9】 被験体における標的 R N A を含む塩基特異的な細胞内結合事象の存在を検出するためのキットであって、以下：

(a) 3 7 よりも実質的に高い T m での、標的 R N A の領域へのワトソン - クリック

塩基対合によるハイブリダイズを減少させるために有効な量の、(i) ヒト c - m y c m R N A 遺伝子の開始コドンに及ぶ領域に相補的である標的化塩基配列を含む 8 ~ 4 0 ヌクレオチド、および (i i) 非荷電のリン含有サブユニット間結合を有する、モルホリノアンチセンス化合物；および

(b) アンチセンスオリゴマーと該標的 R N A との間で形成されたヘテロ二重鎖を検出するための手段
を備える、キット。