

【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26年1月16日 (2014.1.16)

【公表番号】特表2013-514321(P2013-514321A)

【公表日】平成25年4月25日 (2013.4.25)

【年通号数】公開・登録公報2013-020

【出願番号】特願2012-543756(P2012-543756)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 31/12 (2006.01)

A 6 1 P 37/06 (2006.01)

A 6 1 P 29/00 (2006.01)

A 6 1 P 19/02 (2006.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088

C 1 2 N 15/00 Z N A G

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 31/12

A 6 1 P 37/06

A 6 1 P 29/00 1 0 1

A 6 1 P 19/02

A 6 1 P 35/02

【手続補正書】

【提出日】平成25年11月20日 (2013.11.20)

【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】

第 1 の鎖および第 2 の鎖を含む H S F 1 に対する R N A i 剤を含む組成物であって、第 1 の鎖の配列は、配列番号：6 3 7、6 3 8、6 3 9、6 8 1、7 8 1、7 8 2、7 8 3 または 7 8 4 の配列を含み、第 1 の鎖および / または第 2 の鎖は修飾されており、第 1 の鎖は約 3 0 以下のヌクレオチドの長さである、組成物。

【請求項 2】

H S F 1 に対する第 2 の R N A i 剤をさらに含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

第 1 の鎖および第 2 の鎖が、両方とも約 1 9 から約 2 3 のヌクレオチドの長さである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 4】

RNAi 剤が、修飾された糖骨格、ホスホロチオエート結合または 2' - 修飾ヌクレオチドを含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 5】

RNAi 剤が、2' - デオキシ、2' - デオキシ - 2' - フルオロ、2' - O - メチル、2' - O - メトキシエチル (2' - O - MOE)、2' - O - アミノプロピル (2' - O - AP)、2' - O - ジメチルアミノエチル (2' - O - DMAOE)、2' - O - ジメチルアミノプロピル (2' - O - DMAP)、2' - O - ジメチルアミノエチルオキシエチル (2' - O - DMAEOE) および 2' - O - N - メチルアセトアミド (2' - O - NMA) からなる群から選択される 2' - 修飾を含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 6】

RNAi 剤が、平滑末端または 1 から 4 個の不對ヌクレオチドを有するオーバーハングを含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 7】

RNAi 剤が、1 つ以上の診断化合物、レポーター基、架橋剤、ヌクレアーゼ耐性を与える部分、天然もしくは異常核酸塩基、親油性分子、コレステロール、脂質、レクチン、ステロイド、ウバオール (uvaol)、ヘコゲニン、ジオスゲニン、テルペン、トリテルペン、サルササボゲニン、フリーデリン (Friedelin)、エピフリーデラノール誘導体化リトコール酸、ビタミン、炭水化物、デキストラン、プルラン、キチン、キトサン、合成炭水化物、オリゴ乳酸エステル 15 - mer、天然ポリマー、低もしくは中間分子量ポリマー、イヌリン、シクロデキストリン、ヒアルロン酸、タンパク質、タンパク質 - 結合剤、インテグリン標的分子、ポリカチオン性物質、ペプチド、ポリアミン、ペプチド模倣物および/またはトランスフェリンに結合している、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 8】

第 1 の鎖および第 2 の鎖を含む HSF 1 に対する RNAi 剤を含む組成物であって、第 1 の鎖の配列は、配列番号：637、638、639、681、781、782、783 または 784 の配列である、組成物。

【請求項 9】

組成物が、HSF 1 に対する第 2 の RNAi 剤をさらに含む、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 10】

第 1 の鎖および第 2 の鎖が、両方とも 19 から 23 のヌクレオチドの長さである、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 11】

RNAi 剤が、修飾された糖骨格、ホスホロチオエート結合または 2' - 修飾ヌクレオチドを含む、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 12】

RNAi 剤が、2' - デオキシ、2' - デオキシ - 2' - フルオロ、2' - O - メチル、2' - O - メトキシエチル (2' - O - MOE)、2' - O - アミノプロピル (2' - O - AP)、2' - O - ジメチルアミノエチル (2' - O - DMAOE)、2' - O - ジメチルアミノプロピル (2' - O - DMAP)、2' - O - ジメチルアミノエチルオキシエチル (2' - O - DMAEOE)、および 2' - O - N - メチルアセトアミド (2' - O - NMA) からなる群から選択される 2' - 修飾を含む、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 13】

RNAi 剤が、平滑末端または 1 から 4 個の不對ヌクレオチドを有するオーバーハングを含む、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 14】

RNAi 剤が、1 つ以上の診断化合物、レポーター基、架橋剤、ヌクレアーゼ耐性を与える部分、天然もしくは異常核酸塩基、親油性分子、コレステロール、脂質、レクチン、ステロイド、ウバオール、ヘコゲニン、ジオスゲニン、テルペン、トリテルペン、サルササボゲニン、フリーデリン、エピフリーデラノール誘導体化リトコール酸、ビタミン、炭

水化物、デキストラン、プルラン、キチン、キトサン、合成炭水化物、オリゴ乳酸エステル 15-mer、天然ポリマー、低もしくは中間分子量ポリマー、イヌリン、シクロデキストリン、ヒアルロン酸、タンパク質、タンパク質-結合剤、インテグリン標的分子、ポリカチオン性物質、ペプチド、ポリアミン、ペプチド模倣物および/またはトランスフェリンに結合している、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 15】

薬学的に許容される担体ならびに治療有効量の第 1 の鎖および第 2 の鎖を含む H S F 1 に対する R N A i 剤を含む組成物を個体に投与する工程を含む、癌に罹患している個体における H S F 1 の発現を阻害する方法であって、第 1 の鎖の配列は、配列番号：637、638、639、681、781、782、783 または 784 の配列を含み、そして/または第 2 の鎖の配列は、配列番号：125、126、127、169、269、270、271 または 272 の配列を含み、第 1 の鎖および/または第 2 の鎖は修飾されているか、または修飾されておらず、第 1 の鎖および/または第 2 の鎖は約 30 以下のヌクレオチドの長さであり、所望により、H S F 1 に対する第 2 の R N A i 剤を投与する工程をさらに含む、方法。

【請求項 16】

膀胱、骨、乳房、子宮頸、大腸、結腸直腸、子宮内膜、線維肉腫、胃腸、造血器、腸、腎臓、肝臓、肺、リンパ腫、神経外胚葉、神経芽腫、ユーイング肉腫、骨肉腫、卵巣、膵臓、胸膜、前立腺、皮膚、扁平上皮、胃、および精巣癌、白血病、前骨髄球性白血病、ならびにホジキン病のリストから選択される癌である、請求項 15 に記載の方法。

【請求項 17】

さらなる癌処置を施す工程をさらに含む、請求項 15 に記載の方法。

【請求項 18】

第 1 の鎖および第 2 の鎖を含む H S F 1 に対する R N A i 剤を含む組成物であって、第 1 の鎖の配列は、配列番号：637、638、639、681、781、782、783 または 784 の配列であり、そして/または第 2 の鎖の配列は、配列番号：125、126、127、169、269、270、271 または 272 の配列であり、第 1 の鎖および/または第 2 の鎖は修飾されている、組成物。

【請求項 19】

R N A i 剤が、インビトロで H e L a 細胞および/または W I - 38 細胞における H S F 1 の発現を少なくとも約 80 % 阻害することができる、請求項 18 に記載の組成物。

【請求項 20】

R N A i 剤が、インビトロで W I - 38 細胞における H S F 1 の発現を少なくとも約 90 % 阻害することができる、請求項 18 に記載の組成物。