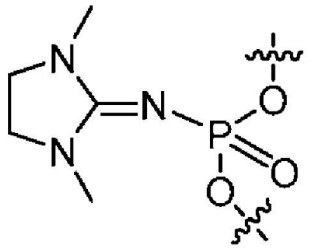
【公報種別】特許法第１７条の２の規定による補正の掲載
【部門区分】第１部門第１区分
【発行日】令和5年3月9日(2023.3.9)

【国際公開番号】WO2020/118246
【公表番号】特表2022-513719(P2022-513719A)
【公表日】令和4年2月9日(2022.2.9)
【年通号数】公開公報(特許)2022-024
【出願番号】特願2021-531966(P2021-531966)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ 15/113(2010.01)
Ａ６１Ｐ 21/04(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/7125(2006.01)
Ａ６１Ｋ 48/00(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 5/10(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 5/071(2010.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ 15/113 Ｚ
Ａ６１Ｐ 21/04 ＺＮＡ
Ａ６１Ｋ 31/7125
Ａ６１Ｋ 48/00
Ｃ１２Ｎ 5/10
Ｃ１２Ｎ 5/071

【手続補正書】
【提出日】令和5年3月1日(2023.3.1)
【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】
複数のオリゴヌクレオチドを含むオリゴヌクレオチド組成物であって、前記複数のオリゴヌクレオチドは、
１）共通の塩基配列、及び
２）独立に１つ又は複数（例えば、約１～５０、１～４０、１～３０、１～２５、１～２０、１～１５、１～１０、５～５０、５～４０、５～３０、５～２５、５～２０、５～１５、５～１０、１、２、３、４、５、６、７、８、９、１０、１１、１２、１３、１４、１５、１６、１７、１８、１９、２０、２１、２２、２３、２４、２５又はそれを超える）のキラルインターヌクレオチド結合（「キラル制御されたインターヌクレオチド結合」）における同じ結合リン立体化学
を共有し、
前記組成物は、前記複数のオリゴヌクレオチドの実質的にラセミ体の製剤と比較して、前記複数のオリゴヌクレオチドについて濃縮されているか、又は前記共通の塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも５％、１０％、２０％、３０％、４０％、５０％、６０％、７０％、８０％又は９０％は、前記複数のオリゴヌクレオチドであり、
前記複数のオリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、

【化１】



の構造及び１つ又は複数の天然リン酸結合を有する１つ又は複数のホスホロチオエートインターヌクレオチド結合を含み、且つ独立に各キラルインターヌクレオチド結合における同じ結合リン立体化学を共有し、

前記オリゴヌクレオチド組成物は、ジストロフィンのエクソン５１のスキッピングを提供する、オリゴヌクレオチド組成物。

【請求項２】

前記共通の塩基配列は、ＡＧＵＵＵＣＣＵＵＡＧＵＡＡＣＣＡＣＡＧ（配列番号：３９２）、ＧＧＵＡＡＧＵＵＣＵＧＵＣＣＡＡＧＣＣＣ（配列番号：３９４）、ＧＵＡＣＣＵＣＣＡＡＣＡＵＣＡＡＧＧＡＡ（配列番号：３９９）、ＣＡＡＣＡＵＣＡＡＧＧＡＡＧＡＵＧＧＣＡ（配列番号：４３６）、ＧＡＵＧＧＣＡＵＵＵＣＵＡＧＵＵＵＧＧＡ（配列番号：４３７）、ＡＵＧＧＣＡＵＵＵＣＵＡＧＵＵＵＧＧＡＧ（配列番号：３９５）、ＵＧＧＣＡＵＵＵＣＵＡＧＵＵＵＧＧＡＧＡ（配列番号：３９３）、ＧＧＣＡＵＵＵＣＵＡＧＵＵＵＧＧＡＧＡＵ（配列番号：４００）、ＧＣＡＵＵＵＣＵＡＧＵＵＵＧＧＡＧＡＵＧ（配列番号：３９６）、ＧＣＡＧＵＵＵＣＣＵＵＡＧＵＡＡＣＣＡＣ（配列番号：４３８）、ＣＡＧＵＵＵＣＣＵＵＡＧＵＡＡＣＣＡＣＡ（配列番号：３９７）、ＵＵＣＣＵＵＡＧＵＡＡＣＣＡＣＡＧＧＵＵ（配列番号：３９８）、ＵＵＧＵＧＵＣＡＣＣＡＧＡＧＵＡＡＣＡＧ（配列番号：４３９）、ＵＧＧＣＡＧＵＵＵＣＣＵＵＡＧＵＡＡＣＣ（配列番号：４０１）、若しくはＵＣＡＡＧＧＡＡＧＡＵＧＧＣＡＵＵＵＣＵ（配列番号：４４０）であるか又はそれを含む、請求項１に記載の組成物。

【請求項３】

組成物であって、前記組成物中のあるレベルのすべてのオリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、以下のいずれかのオリゴヌクレオチドの構造を有する、組成物；

ｆＡ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＣｎ００１ＲｍＣｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｍＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧ

（式中、

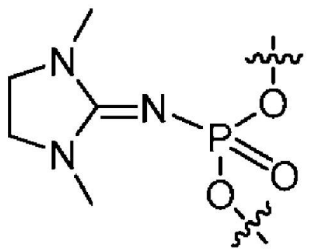
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

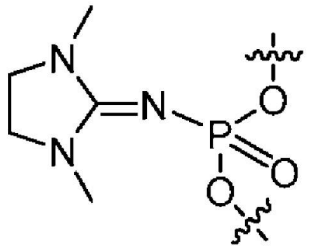
ｎ００１Ｒは、

【化２】

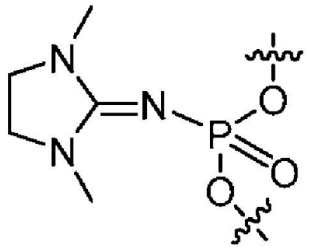


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若

しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｍＡ
ｆＡ＊ＳｍＣ＊ＳｆＡ＊ＳｍＵｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＡ＊Ｓ
ｆＡ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化３】

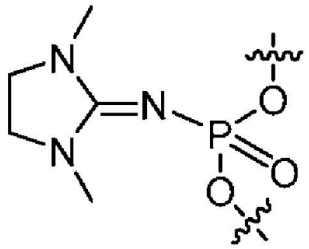


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣ
ｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＧ＊Ｓ
ｆＡ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化４】



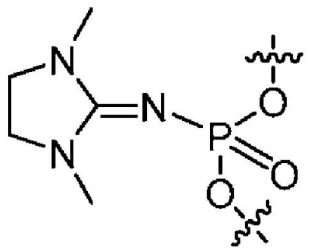
であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；又は
ｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＣｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｍＵｆＣ＊ＳｆＵ＊Ｓ
ｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｍＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＡ＊Ｓ
ｆＵ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

【化５】



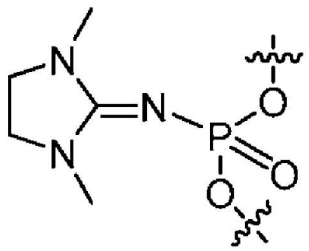
であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
所望により以下の構造を有する：
ｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＵ
ｆＣ＊ＳｍＣ＊ＳｆＵ＊ＳｍＵｆＡ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＣ＊Ｓ
ｆＣ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

【化６】

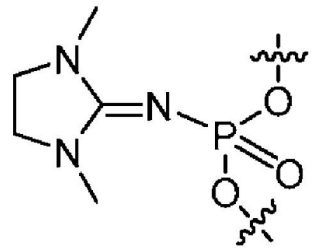


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｍＵｆＵ＊ＳｆＵ＊Ｓ
ｍＣ＊ＳｆＣ＊ＳｍＵｍＵ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＣ＊Ｓ
ｆＣ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

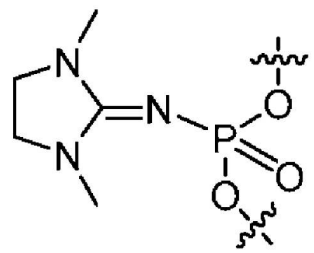
【化７】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣｆＵ＊ＳｍＧ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化８】

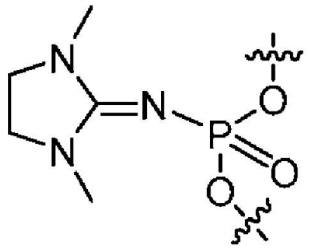


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｍＵｆＵ＊ＳｆＣ＊ＳｍＵ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｍＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化９】



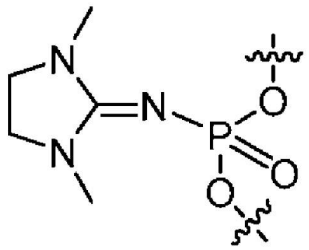
であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｍＡｆＧ＊ＳｍＧ＊ＳｆＡ＊ＳｍＡｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

【化１０】



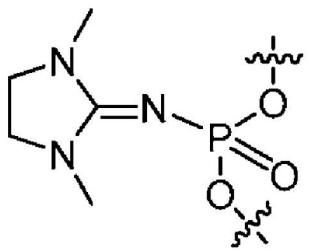
であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＡ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓｆ Ｇｎ００１ＲｆＧ＊Ｓｆ Ｃ＊Ｓｆ Ａｎ００１ＲｆＵ＊Ｓｆ Ｕ＊ＳｍＵ ｆＣ＊ＳｍＵ＊Ｓｆ Ａ＊ＳｍＧｆＵ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓｆ Ｇｎ００１ＲｆＧ＊Ｓｆ Ａ＊Ｓｆ Ｇ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

【化１１】

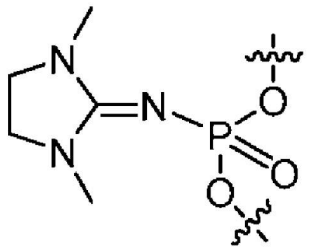


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＡ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓｆ Ｇｎ００１ＲｆＧ＊Ｓｆ Ｃ＊Ｓｆ Ａｎ００１ＲｍＵｆＵ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓ ｍＣ＊Ｓｆ Ｕ＊ＳｍＡｍＧ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓｆ Ｕ＊Ｓｆ Ｇｎ００１ＲｆＧ＊Ｓｆ Ａ＊Ｓ ｆＧ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

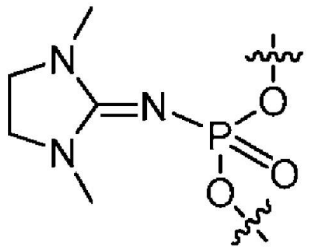
【化１２】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＧ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡｆＧ＊ＳｍＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＵｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化１３】

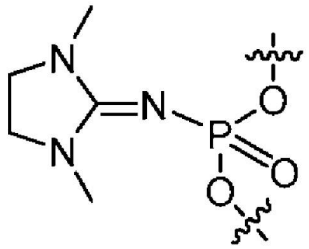


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｍＵｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化１４】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；又は、
ｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＣｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｍＡｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＡ＊ＳｍＣｍＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

【化１５】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩。

【請求項４】

前記組成物は、液体組成物であり、前記オリゴヌクレオチドは、前記組成物に溶解された１つ又は複数の塩である、請求項１に記載の組成物。

【請求項５】

前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、薬学的に許容可能な塩である、請求項１に記載の組成物。

【請求項６】

前記共通の塩基配列を共有する前記組成物中の前記オリゴヌクレオチドの少なくとも５０％は、前記複数のオリゴヌクレオチドである、請求項１に記載の組成物。

【請求項７】

前記組成物は、液体組成物であり、前記オリゴヌクレオチドは、前記組成物に溶解された１つ又は複数の塩である、請求項３に記載の組成物。

【請求項８】

前記オリゴヌクレオチドは、それぞれ独立に、薬学的に許容可能な塩である、請求項３に記載の組成物。

【請求項９】

前記レベルは、約５０％以上である、請求項３に記載の組成物。

【請求項１０】

以下の構造を有するオリゴヌクレオチド；

ｆＡ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＣｎ００１ＲｍＣｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｍＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧ

（式中、

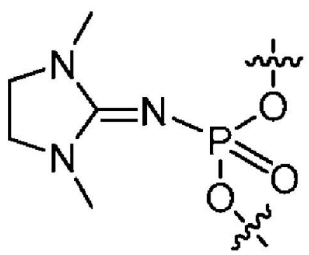
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

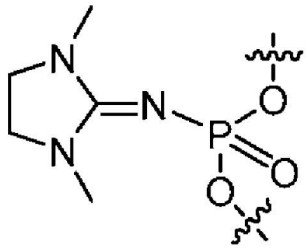
ｎ００１Ｒは、

【化１６】

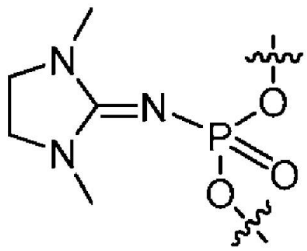


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｍＡｆＡ＊ＳｍＣ＊ＳｆＡ＊ＳｍＵｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化１７】

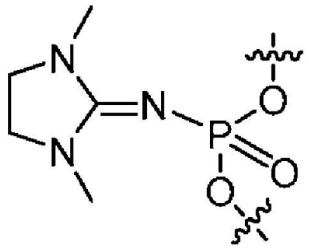


であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＧ＊ＳｆＡ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、
【化１８】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；
ｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＣｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｍＵｆＣ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｍＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＵ
（式中、
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；
＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；
ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び
ｎ００１Ｒは、

【化１９】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＵｆＣ＊ＳｍＣ＊ＳｆＵ＊ＳｍＵｆＡ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ

（式中、

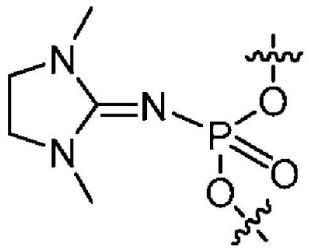
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２０】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＵ＊ＳｆＧ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｍＵｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣ＊ＳｆＣ＊ＳｍＵｍＵ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ

（式中、

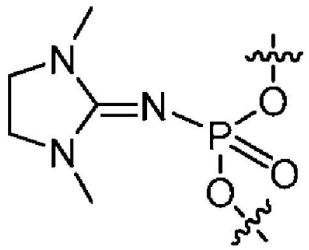
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２１】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣｆＵ＊ＳｍＧ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ

（式中、

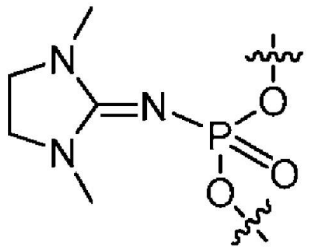
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２２】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｍＵｆＵ＊ＳｆＣ＊ＳｍＵ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｍＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣ

（式中、

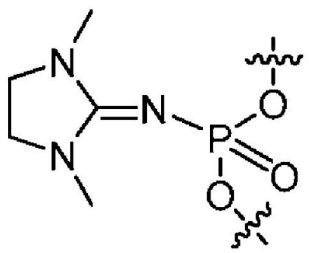
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２３】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｍＡｆＧ＊ＳｍＧ＊ＳｆＡ＊ＳｍＡｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ

（式中、

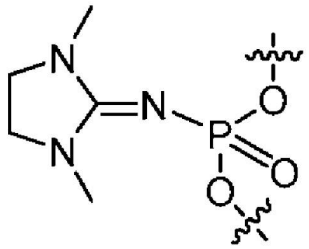
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２４】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＵｆＣ＊ＳｍＵ＊ＳｆＡ＊ＳｍＧｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧ

（式中、

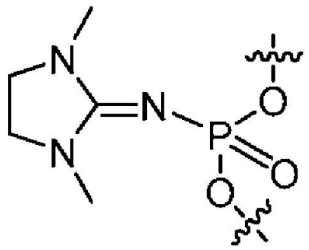
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２５】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡｎ００１ＲｍＵｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＣ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡｍＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧ

（式中、

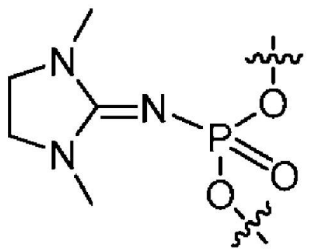
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２６】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＧ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡｆＧ＊ＳｍＵ＊ＳｆＵ＊ＳｍＵｆＧ＊ＳｆＧ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＵ＊ＳｆＧ

（式中、

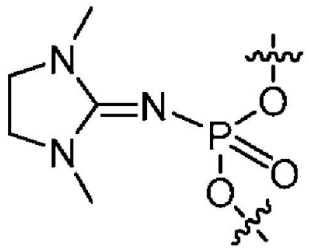
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２７】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；

ｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＣ＊ＳｍＵｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＧ＊ＳｍＵｆＡ＊ＳｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＣｎ００１ＲｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ

（式中、

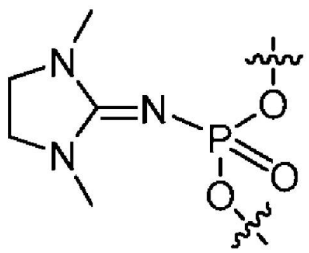
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２８】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩；又は、

ｆＵ＊ＳｆＵ＊ＳｆＣｎ００１ＲｆＣ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵｎ００１ＲｍＡｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｍＡ＊ＳｆＡ＊ＳｍＣｍＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＣ＊ＳｆＡ＊ＳｆＧｎ００１ＲｆＧ＊ＳｆＵ＊ＳｆＵ

（式中、

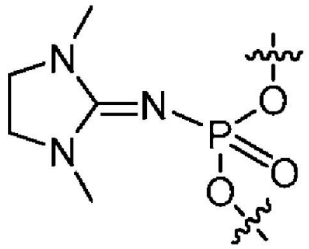
ｆは、２’－Ｆ修飾ヌクレオシドを表し；

＊Ｓは、Ｓｐホスホロチオエートを表し；

ｍは、２’－ＯＭｅ修飾ヌクレオシドを表し；及び

ｎ００１Ｒは、

【化２９】



であり、ここで、リンは、Ｒｐ配置のものである）の構造を有するオリゴヌクレオチド若しくはその薬学的に許容可能な塩。

【請求項１１】

薬学的に許容可能な塩である、請求項１０に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項１２】

約５０％以上のジアステレオマー純度を有する、請求項１０に記載のオリゴヌクレオチド。

【請求項１３】

有効量の請求項１０に記載のオリゴヌクレオチド、及び薬学的に許容可能な担体を含む医薬組成物。

【請求項１４】

標的転写物のスプライシングを変化させるための方法で使用するための、請求項３に記載の組成物。

【請求項１５】

ジストロフィンのエクソン５１は、前記組成物の非存在と比較して増加したレベルでスキップされる、請求項１４に記載の組成物。

【請求項１６】

標的転写物のスプライシングを変化させるための方法で使用するための、請求項１０に記載のオリゴヌクレオチドを含む医薬組成物。

【請求項１７】

ジストロフィンのエクソン５１は、前記組成物の非存在と比較して増加したレベルでスキップされる、請求項１６に記載の医薬組成物。

【請求項１８】

筋ジストロフィー、デュシェンヌ型（デュシェンヌ）筋ジストロフィー（ＤＭＤ）又はベッカー型（ベッカー）筋ジストロフィー（ＢＭＤ）を治療するための組成物であって、前記治療が、それに罹り易いか又はそれに罹患している対象に、請求項１に記載の組成物を投与することを含み、前記対象は、エクソン５１のスキッピングに適したＤＭＤ遺伝子の突然変異を有する、請求項１に記載の組成物。

【請求項１９】

筋ジストロフィー、デュシェンヌ型（デュシェンヌ）筋ジストロフィー（ＤＭＤ）又はベッカー型（ベッカー）筋ジストロフィー（ＢＭＤ）を治療するための組成物であって、前記治療が、それに罹り易いか又はそれに罹患している対象に、請求項３に記載の組成物を投与することを含み、前記対象は、エクソン５１のスキッピングに適したＤＭＤ遺伝子の突然変異を有する、請求項３に記載の組成物。

【請求項２０】

筋ジストロフィー、デュシェンヌ型（デュシェンヌ）筋ジストロフィー（ＤＭＤ）又はベッカー型（ベッカー）筋ジストロフィー（ＢＭＤ）を治療するための組成物であって、前記治療が、それに罹り易いか又はそれに罹患している対象に、請求項１０に記載のオリゴヌクレオチドを含む組成物を投与することを含み、前記対象は、エクソン５１のスキッピングに適したＤＭＤ遺伝子の突然変異を有する、請求項１０に記載のオリゴヌクレオチド

を含む医薬組成物。