

【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24年8月9日(2012.8.9)

【公表番号】特表2009-512673(P2009-512673A)

【公表日】平成21年3月26日(2009.3.26)

【年通号数】公開・登録公報2009-012

【出願番号】特願2008-536136(P2008-536136)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 27/04 (2006.01)

A 6 1 P 17/14 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 48/00 Z N A

A 6 1 K 31/713

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 27/04

A 6 1 P 17/14

C 1 2 N 15/00 A

【誤訳訂正書】

【提出日】平成24年6月21日(2012.6.21)

【誤訳訂正1】

【訂正対象書類名】特許請求の範囲

【訂正対象項目名】全文

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

TRPV1の発現および/または活性の増大を特徴とする眼の状態の治療における使用のための薬剤の調製における、薬学的に効果的な投与量のTRPV1に対する低分子干渉核酸(sRNA)の使用であって、前記薬剤が局所的に角膜表面に投与されるものである、使用。

【請求項2】

投与が点眼薬を使用して実施されるものである、請求項1に記載の使用。

【請求項3】

眼の状態が、屈折手術後の角膜の不快感および感受性の変化、コンタクトレンズの使用、ドライアイ、糖尿病性網膜症ならびに他の眼科症状を含む群から選択される、請求項1または2に記載の使用。

【請求項4】

sRNAが短鎖干渉リボ核酸(siRNA)である、請求項1から3のいずれか一項に記載の使用

。

【請求項5】

siRNAが二本鎖リボ核酸(dsRNA)または低分子ヘアピン型リボ核酸(shRNA)である、請求項4に記載の使用。

【請求項6】

sRNAが修飾オリゴヌクレオチドを含み、前記修飾が、ホスホロチオエートヌクレオチド間結合、2'-O-メチルリボヌクレオチド、2'-デオキシフルオロリボヌクレオチド、2'-デ

オキシリボヌクレオチド、「ユニバーサル塩基」ヌクレオチド、5-C-メチルヌクレオチド、逆方向デオキシ脱塩基残基の導入、siRNAの2個の相補鎖間の化学架橋結合、siRNA鎖の3'もしくは5'末端の化学的修飾、糖修飾、核酸塩基修飾および/または骨格修飾、2'-フルオロ修飾リボヌクレオチド、2'-デオキシリボヌクレオチド、未修飾のピリミジンヌクレオチドの2-チオ、5-アルキニル、5-メチルまたは5-プロピニルピリミジンへの置換、未修飾のプリン7-デアザ、7-アルキルまたは7-アルケニルプリンへの置換から選択される、請求項1から5のいずれか一項に記載の使用。

【請求項7】

siNAの複数の分子種を使用する、請求項1から6のいずれか一項に記載の使用。

【請求項8】

前記複数の分子種が同じmRNA分子種を標的とする、請求項7に記載の使用。

【請求項9】

siNAが、配列番号1から配列番号81から選択される配列または配列番号1から配列番号81から選択される配列を含む配列を標的とする、請求項1から8のいずれか一項に記載の使用。

【請求項10】

本発明のsiNA分子が配列番号82から配列番号162の群から選択されるヌクレオチド配列を含む、請求項1から9のいずれか一項に記載の使用。

【請求項11】

siNA分子が3'オーバーハングを含有する請求項10に記載の使用。

【請求項12】

TRPV1に対するsiNAを含む、TRPV1の発現および/または活性の増大を特徴とする眼の状態の治療用組成物であって、局所的に角膜表面に投与されるものである、組成物。

【請求項13】

配列番号65のヌクレオチド配列に相補的なヌクレオチド配列を含む、TRPV1を標的にするsiNA化合物。

【請求項14】

配列番号146に記載されたヌクレオチド配列を含む、請求項13に記載のsiRNA化合物。

【請求項15】

両方の3'末端にオーバーハングを有し、両オーバーハングがdTdTである、配列番号146に記載されたヌクレオチドを含む請求項14に記載されたsiNA化合物。

【請求項16】

siNAがsiRNAである、請求項13から15のいずれか一項に記載のsiNA化合物。

【請求項17】

siRNAがdsRNAまたはshRNAである、請求項16に記載のsiNA化合物。

【請求項18】

siNAが修飾オリゴヌクレオチドを含み、前記修飾が、ホスホロチオエートヌクレオチド間結合、2'-O-メチルリボヌクレオチド、2'-デオキシ-フルオロリボヌクレオチド、2'-デオキシリボヌクレオチド、「ユニバーサル塩基」ヌクレオチド、5-C-メチルヌクレオチド、逆方向デオキシ脱塩基残基の導入、siRNAの2個の相補鎖間の化学架橋結合、siRNA鎖の3'もしくは5'末端の化学的修飾、糖修飾、核酸塩基修飾および/または骨格修飾、2'-フルオロ修飾リボヌクレオチド、2'-デオキシリボヌクレオチド、未修飾のピリミジンヌクレオチドの2-チオ、5-アルキニル、5-メチルまたは5-プロピニルピリミジンへの置換、未修飾のプリン7-デアザ、7-アルキルまたは7-アルケニルプリンへの置換から選択される、請求項13から17のいずれか一項に記載のsiNA化合物。

【請求項19】

薬剤として使用するための、請求項13から18のいずれか一項に記載のsiNA。

【請求項20】

TRPV1の発現および/または活性の増大を特徴とする眼の状態の治療における使用のための薬剤の調製における、薬学的に効果的な投与量の請求項13から18のいずれか一項に記載

のsiNAの使用であって、前記薬剤が局所的に角膜表面に投与されるものである、使用。

【請求項 2 1】

請求項13から18のいずれか一項に記載のsiNAを含む、TRPV1の発現および/または活性の増大を特徴とする眼の状態の治療用組成物であって、局所的に角膜表面に投与されるものである、組成物。

【請求項 2 2】

請求項13から18のいずれか一項に記載の化合物を含む医薬組成物。

【誤訳訂正 2】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0 0 4 7

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0 0 4 7】

他の実施形態において修飾はsiRNAの安定性を促進するためまたは標的化効率を増大させるために使用できる。修飾は、1個のsiRNAの2個の相補鎖間の化学架橋結合、1本のsiRNA鎖の3'もしくは5'末端の化学的修飾、糖修飾、核酸塩基修飾および/または骨格修飾、2'-フルオロ修飾リボヌクレオチドもしくは2'-デオキシリボヌクレオチドを含む(一般に国際公開WO2004/029212を参照)。