

【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29年3月9日(2017.3.9)

【公開番号】特開2017-2079(P2017-2079A)

【公開日】平成29年1月5日(2017.1.5)

【年通号数】公開・登録公報2017-001

【出願番号】特願2016-189465(P2016-189465)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

C 1 2 N 15/00 Z N A G

C 1 2 N 15/00 A

【手続補正書】

【提出日】平成29年1月31日(2017.1.31)

【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】

増加したRNAiサイレンシング活性を有する2本鎖iRNA剤であって、

a. 標的遺伝子に相補的であるアンチセンス鎖と、

b. 前記アンチセンス鎖に相補的であり、標的切断部位に相当する領域に少なくとも1つの修飾核酸塩基を含む、センス鎖であって、前記切断部位領域は、該センス鎖の5'末端から9~12位に相当し、前記修飾核酸塩基が、9位におけるリボネプラリン、12位におけるリボ-2-アミノプリン、または10位における脱塩基ヌクレオチドを含む、センス鎖と、

を含み、前記増加したRNAiサイレンシング活性が、RNAiサイレンシングアッセイにおいてそれぞれのIC₅₀値を比較することによって決定される、対応する非修飾iRNA剤に対してである、iRNA剤。

【請求項2】

前記センス鎖およびアンチセンス鎖が、それぞれ15~30核酸塩基長である、請求項1記載のiRNA剤。

【請求項3】

前記センス鎖およびアンチセンス鎖が、それぞれ19~25核酸塩基長である、請求項1記載のiRNA剤。

【請求項4】

前記センス鎖およびアンチセンス鎖が、それぞれ21~23核酸塩基長である、請求項1記載のiRNA剤。

【請求項5】

前記センス鎖およびアンチセンス鎖が、それぞれ 21 核酸塩基長である、請求項 1 記載の iRNA 剤。

【請求項 6】

少なくとも 1 つの終端に 1 本鎖オーバーハングを含む、請求項 1 記載の iRNA 剤。

【請求項 7】

前記 1 本鎖オーバーハングが、1 つ、2 つ、または 3 つの核酸塩基からなる、請求項 6 記載の iRNA 剤。

【請求項 8】

細胞中の標的遺伝子の発現を減少させる方法であって、前記細胞を請求項 1 ~ 7 いずれか 1 項記載の iRNA 剤と接触させることを含む、方法。