

【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22年4月8日(2010.4.8)

【公表番号】特表2007-525454(P2007-525454A)

【公表日】平成19年9月6日(2007.9.6)

【年通号数】公開・登録公報2007-034

【出願番号】特願2006-513077(P2006-513077)

【国際特許分類】

C 0 7 H 21/02 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

A 6 1 K 31/712 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 31/14 (2006.01)

C 0 7 F 9/24 (2006.01)

C 0 7 F 9/572 (2006.01)

C 0 7 K 7/06 (2006.01)

C 0 7 K 7/08 (2006.01)

C 0 7 K 14/155 (2006.01)

A 6 1 L 2/16 (2006.01)

【 F I 】

C 0 7 H 21/02 C S P

C 1 2 N 15/00 Z N A A

A 6 1 K 31/712

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 35/02

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 31/14

C 0 7 F 9/24 F

C 0 7 F 9/572

C 0 7 K 7/06

C 0 7 K 7/08

C 0 7 K 14/155

A 6 1 L 2/16 Z

【手続補正書】

【提出日】平成22年2月22日(2010.2.22)

【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

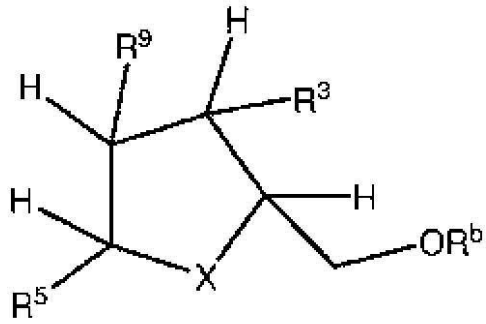
【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

第1鎖および第2鎖を備えたiRNA剤であって、前記鎖の少なくとも一方に、式(I)を有する少なくとも1つのサブユニットが組み込まれており、前記鎖の少なくとも一方により、RISC機構を介して相補的標的配列が切断されることを特徴とするiRNA剤

## 【化1】



(I)

(式中、

XはN(CO)R<sup>7</sup>、またはNR<sup>7</sup>であり；

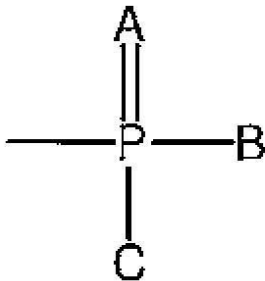
R<sup>3</sup>およびR<sup>9</sup>は、R<sup>3</sup>またはR<sup>9</sup>の一方のみがOH、OR<sup>a</sup>、またはOR<sup>b</sup>であると仮定すると各々独立してH、OH、OR<sup>a</sup>、またはOR<sup>b</sup>であり；

R<sup>5</sup>はHまたはC<sub>1</sub>~C<sub>6</sub>アルキルであり；

R<sup>7</sup>はNR<sup>c</sup>R<sup>d</sup>またはNHC(O)R<sup>d</sup>で置換されたC<sub>1</sub>~C<sub>20</sub>アルキルであり；

R<sup>a</sup>は

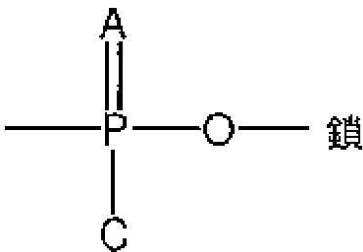
## 【化2】



であり；

R<sup>b</sup>は

## 【化3】

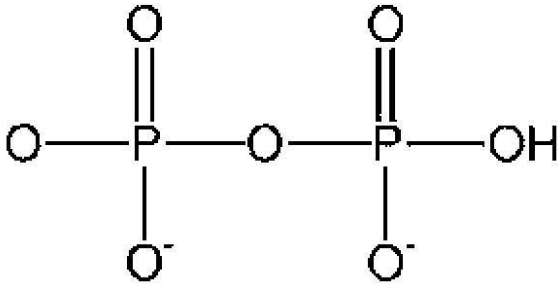


であり；

AおよびCのそれぞれは、独立に、OまたはSであり；

BはOH、O<sup>-</sup>、または

【化 4】



であり；

R<sup>a</sup>はHまたはC<sub>1</sub>~C<sub>6</sub>アルキルであり；R<sup>d</sup>は少なくとも1つの糖質基に任意選択で連結されたステロイド基である。)

【請求項 2】

R<sup>3</sup>はOR<sup>a</sup>である、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 3】

【化 5】

と R<sup>3</sup>はトランスである、請求項 2 に記載の iRNA 剤。

【請求項 4】

A は O である、請求項 3 に記載の iRNA 剤。

【請求項 5】

A は S である、請求項 3 に記載の iRNA 剤。

【請求項 6】

R<sup>3</sup>はOR<sup>b</sup>である、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 7】

R<sup>7</sup>は(CH<sub>2</sub>)<sub>5</sub>NHR<sup>d</sup>または(CH<sub>2</sub>)<sub>5</sub>NHC(O)R<sup>d</sup>である、請求項 3 に記載の iRNA 剤。

【請求項 8】

R<sup>d</sup>はコレステロール基である、請求項 3 に記載の iRNA 剤。

【請求項 9】

R<sup>9</sup>はOR<sup>a</sup>である、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 10】

【化 6】

と R<sup>9</sup>はトランスである、請求項 9 に記載の iRNA 剤。

【請求項 11】

R<sup>9</sup>はOR<sup>b</sup>である、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 12】

R<sup>3</sup>およびR<sup>9</sup>の一方がOR<sup>a</sup>である、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 13】

R<sup>3</sup>およびR<sup>9</sup>の一方がOR<sup>b</sup>である、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 14】

請求項 1 に記載の iRNA 剤と、該 iRNA 剤が配される滅菌容器と、取扱説明書とを含むキット。

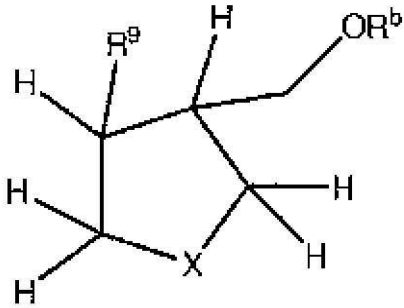
【請求項 15】

$R^3$ および $R^9$ の一方がOHである、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項 16】

第1鎖および第2鎖を備えたiRNA剤であって、前記鎖の少なくとも一方に、式(I')を有する少なくとも1つのサブユニットが組み込まれていることを特徴とするiRNA剤。

【化7】



式(I')

(式中、

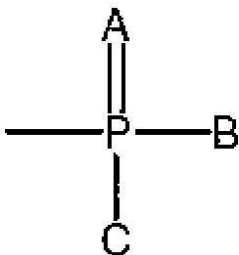
$X$ は $N(CO)R^7$ 、または $NR^7$ であり；

$R^9$ は、 $OR^a$ 、 $OR^b$ またはOHであり；

$R^7$ は $R^d$ 、または $NR^cR^d$ もしくは $NHC(O)R^d$ で置換された $C_1 \sim C_{20}$ アルキルであり；

$R^a$ は

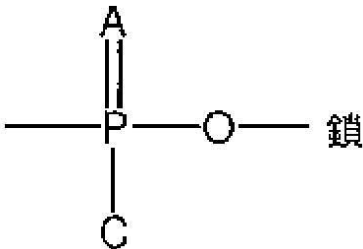
【化8】



であり；

$R^b$ は

【化9】

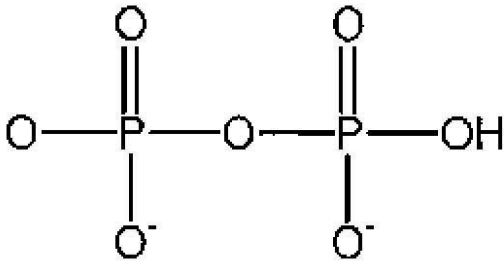


であり；

$A$ および $C$ のそれぞれは、独立に、 $O$ または $S$ であり；

$B$ はOH、 $O^-$ 、または

【化 1 0】



であり；

R<sup>o</sup>はHまたはC<sub>1</sub>~C<sub>6</sub>アルキルであり；R<sup>d</sup>は少なくとも1つの糖質基に任意選択で連結されたステロイド基である。)

【請求項 1 7】

R<sup>9</sup>がOHである、請求項 1 6 に記載の iRNA 剤。

【請求項 1 8】

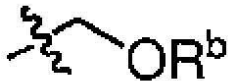
R<sup>9</sup>がOR<sup>a</sup>である、請求項 1 6 に記載の iRNA 剤。

【請求項 1 9】

R<sup>9</sup>がOR<sup>b</sup>である、請求項 1 6 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 0】

【化 1 1】

とR<sup>9</sup>はトランスである、請求項 1 6 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 1】

R<sup>3</sup>はH、R<sup>5</sup>はH、およびR<sup>9</sup>はOHである請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 2】

XはN(CO)R<sup>7</sup>である請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 3】

R<sup>7</sup>はNH C(O)R<sup>d</sup>で置換されたC<sub>1</sub>~C<sub>20</sub>アルキルである、請求項 2 2 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 4】

R<sup>7</sup>はNH C(O)R<sup>d</sup>で置換されたC<sub>3</sub>~C<sub>8</sub>アルキルである、請求項 2 3 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 5】

R<sup>7</sup>はNH C(O)R<sup>d</sup>で置換されたC<sub>5</sub>~C<sub>7</sub>アルキルである、請求項 2 4 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 6】

R<sup>7</sup>はNH C(O)R<sup>d</sup>で置換されたC<sub>5</sub>アルキルである、請求項 2 3 に記載の iRNA 剤

。

【請求項 2 7】

R<sup>d</sup>はコレステロール基である、請求項 2 6 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 8】

R<sup>9</sup>はOHである、請求項 2 7 に記載の iRNA 剤。

【請求項 2 9】

R<sup>d</sup>はコレステロール基である、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 3 0】

R<sup>d</sup>はウバオールである、請求項 1 に記載の iRNA 剤。

【請求項 3 1】

R<sup>d</sup>はヘコゲニンである、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項32】

R<sup>d</sup>はジオスゲニンである、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項33】

R<sup>d</sup>はコール酸である、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項34】

R<sup>d</sup>はジヒドロテストステロンである、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項35】

R<sup>d</sup>はコレステリル基である、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項36】

R<sup>d</sup>はO3-(オレオイル)リトコール酸基である、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項37】

R<sup>d</sup>はO3-(オレオイル)コレン酸基である、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項38】

Aは各々Oである、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項39】

Aは少なくとも1つがSである、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項40】

センス鎖に式(I)が組み込まれている、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項41】

センス鎖の3'末端に式(I)が組み込まれている、請求項40に記載のiRNA剤。

【請求項42】

アンチセンス鎖に式(I)が組み込まれている、請求項1に記載のiRNA剤。

【請求項43】

アンチセンス鎖の3'末端に式(I)が組み込まれている、請求項42に記載のiRNA剤。