

【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】平成24年5月24日 (2012.5.24)

【公表番号】特表2011-526482(P2011-526482A)

【公表日】平成23年10月13日 (2011.10.13)

【年通号数】公開・登録公報2011-041

【出願番号】特願2011-515374(P2011-515374)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 47/48 (2006.01)

A 6 1 P 3/04 (2006.01)

A 6 1 P 1/16 (2006.01)

A 6 1 P 3/10 (2006.01)

A 6 1 P 3/06 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A G

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 47/48

A 6 1 P 3/04

A 6 1 P 1/16

A 6 1 P 3/10

A 6 1 P 3/06

A 6 1 P 43/00 1 1 1

C 1 2 N 15/00 A

【手続補正書】

【提出日】平成24年3月28日 (2012.3.28)

【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】

m t G P A T 1 m R N A を発現している細胞中の m t G P A T 1 遺伝子または m R N A の発現を阻害する、長さが 10 ～ 30 のヌクレオチドの一本鎖オリゴマーであって、前記オリゴマーは、合計 10 ～ 30 のヌクレオチドの連続ヌクレオチド配列を含み、前記連続ヌクレオチド配列は、配列番号 263 またはその天然の変異体などの哺乳動物 m t G P A T 1 遺伝子または m R N A の逆相補配列に対応する領域と少なくとも 80 % 相同であるオリゴマー。

【請求項 2】

連続ヌクレオチド配列は、配列番号 264、265、266、267、268、269、270、271、272、273、274、275、276、277、278、279、280、281、282、283、284、285、286、287、288、289、および 290 のいずれかに対応する領域と少なくとも 80 % 相同である、請求項 1 に記載のオリゴマー。

【請求項 3】

連続ヌクレオチド配列は、配列番号 263 の対応する領域の逆相補配列に対してミスマッチを含まないまたは 1 つまたは 2 つ以下のミスマッチを含む、請求項 1 または 2 に記載のオリゴマー。

【請求項 4】

オリゴマーのヌクレオチド配列は、前記連続ヌクレオチド配列から成る、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載のオリゴマー。

【請求項 5】

連続ヌクレオチド配列は、長さが 10 ~ 18 のヌクレオチドである、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載のオリゴマー。

【請求項 6】

連続ヌクレオチド配列は、ヌクレオチド類似体を含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載のオリゴマー。

【請求項 7】

連続ヌクレオチドは、配列番号 1 ~ 262 のいずれか 1 つを含むまたはそれから成る、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載のオリゴマー。

【請求項 8】

ヌクレオチド類似体は、ロックド核酸 (LNA) 単位；2' - O - アルキル - RNA 単位、2' - OMe - RNA 単位、2' - アミノ - DNA 単位、および 2' - フルオロ - DNA 単位から成る群から選択される糖修飾ヌクレオチドなどの糖修飾ヌクレオチドである、請求項 6 または 7 に記載のオリゴマー。

【請求項 9】

ヌクレオチド類似体は、LNA である、請求項 6 または 7 に記載のオリゴマー。

【請求項 10】

ギャップマーである、請求項 6 ~ 9 のいずれか一項に記載のオリゴマー。

【請求項 11】

オリゴマーは、配列番号 2、33、125、142、147、169、176、182、214、249、250、および 254 のいずれか 1 つである、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のオリゴマー。

【請求項 12】

請求項 1 ~ 11 のいずれか一項に記載のオリゴマーおよび前記オリゴマーに共有結合された少なくとも 1 つの非ヌクレオチド部分または非ポリヌクレオチド部分を含むコンジュゲート。

【請求項 13】

請求項 1 ~ 11 のいずれか一項に記載のオリゴマーまたは請求項 13 に記載のコンジュゲートおよび薬学的に許容できる希釈剤、担体、塩、またはアジュバントを含む医薬組成物。

【請求項 14】

過体重、肥満症、脂肪肝、肝臓脂肪症、非アルコール性脂肪性肝疾患 (NAFLD)、非アルコール性脂肪性肝炎 (NASH)、インスリン抵抗性、およびインスリン非依存性糖尿病 (NIDDM) の治療のためなど、医薬として使用するための、請求項 1 ~ 11 のいずれか一項に記載のオリゴマーまたは請求項 12 に記載のコンジュゲート。

【請求項 15】

過体重、肥満症、脂肪肝、肝臓脂肪症、非アルコール性脂肪性肝疾患 (NAFLD)、非アルコール性脂肪性肝炎 (NASH)、インスリン抵抗性、およびインスリン非依存性糖尿病 (NIDDM) を治療するための医薬の製造のための、請求項 1 ~ 11 のいずれか一項に記載のオリゴマーまたは請求項 13 に記載のコンジュゲートの使用。

【請求項 16】

mtGPAT1 を発現している細胞中の mtGPAT1 を阻害するための方法であって、前記細胞中の mtGPAT1 を阻害するために、前記細胞に、請求項 1 ~ 11 のいずれ

か一項に記載のオリゴマーまたは請求項 1 2 に記載のコンジュゲートを投与するステップを含む方法。