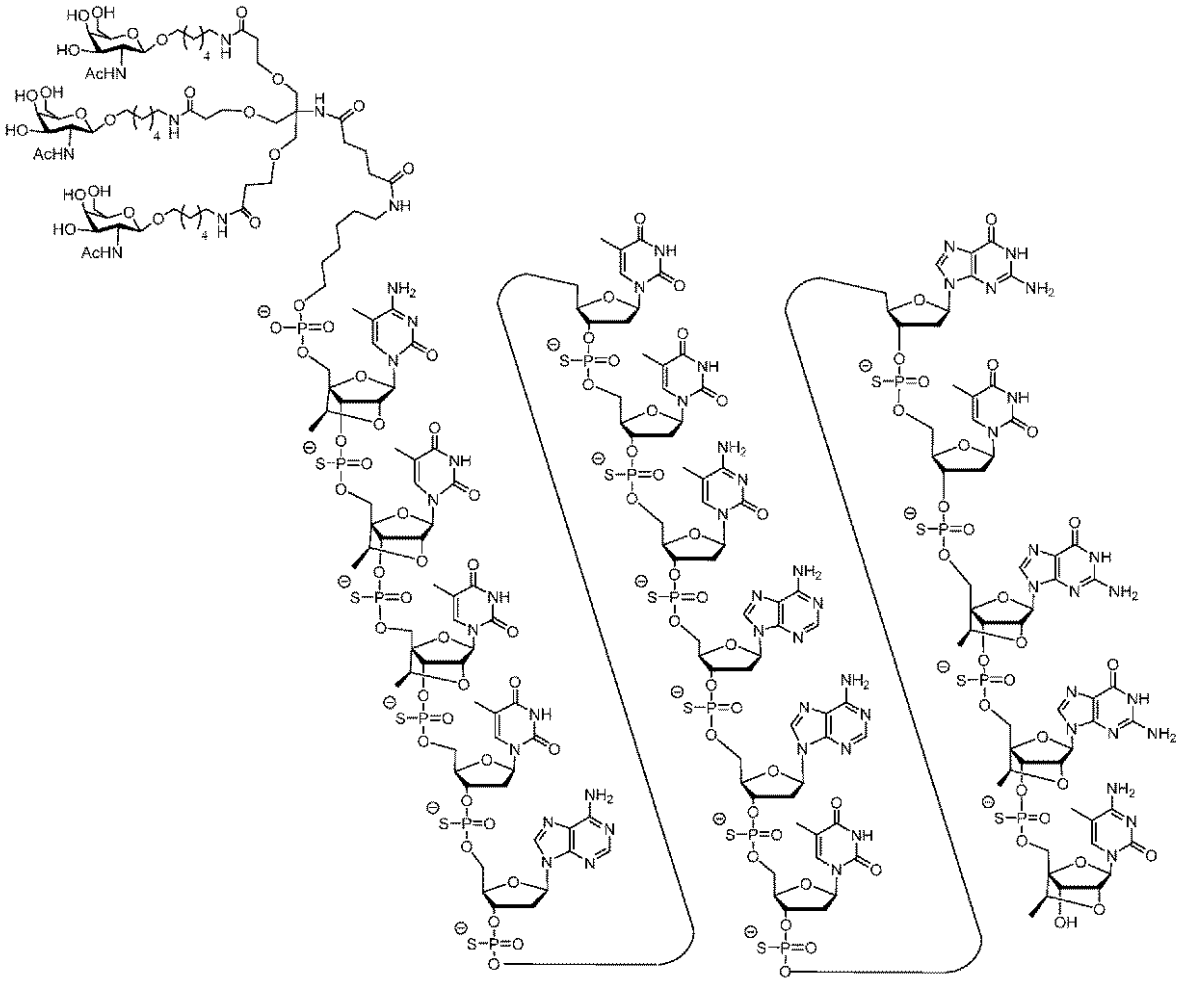
【公報種別】特許法第１７条の２の規定による補正の掲載
【部門区分】第１部門第１区分
【発行日】令和4年3月31日(2022.3.31)

【国際公開番号】WO2020/061200
【公表番号】特表2022-501024(P2022-501024A)
【公表日】令和4年1月6日(2022.1.6)
【出願番号】特願2021-514998(P2021-514998)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ 15/113(2010.01)
Ｃ１２Ｎ 15/85(2006.01)
Ｃ０７Ｈ 21/04(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/7125(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/712(2006.01)
Ａ６１Ｐ 1/16(2006.01)
Ａ６１Ｐ 29/00(2006.01)
Ａ６１Ｐ 3/06(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 5/071(2010.01)
Ｃ１２Ｎ 5/09(2010.01)
Ｃ１２Ｑ 1/6851(2018.01)
Ｃ１２Ｑ 1/686(2018.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ 15/113 ＺＺＮＡ
Ｃ１２Ｎ 15/85 Ｚ
Ｃ０７Ｈ 21/04 Ｚ
Ａ６１Ｋ 31/7125
Ａ６１Ｋ 31/712
Ａ６１Ｐ 1/16
Ａ６１Ｐ 29/00
Ａ６１Ｐ 3/06
Ｃ１２Ｎ 5/071
Ｃ１２Ｎ 5/09
Ｃ１２Ｑ 1/6851 Ｚ
Ｃ１２Ｑ 1/686 Ｚ

【手続補正書】
【提出日】令和4年3月23日(2022.3.23)
【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】
以下の式：

【化１】



を有する化合物（化合物の陰イオン形態は、式（配列番号１０８９）を有する）、又はその薬学的に許容され得る塩。

【請求項２】

修飾オリゴヌクレオチド及びコンジュゲート基であって、前記修飾オリゴヌクレオチドは、１６個の結合ヌクレオシドの長さであり、且つ配列番号１０８９の配列からなり、前記修飾オリゴヌクレオチドは、

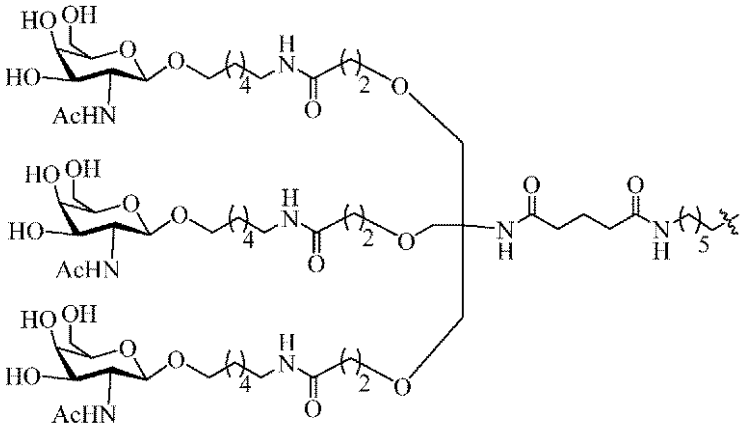
１０個の結合デオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；

３個の結合ヌクレオシドからなる５’ウイングセグメント；及び

３個の結合ヌクレオシドからなる３’ウイングセグメント

を含み、前記ギャップセグメントは、前記５’ウイングセグメントと前記３’ウイングセグメントとの間に位置し、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドは、ｃＥｔ糖を含み；各ヌクレオシド間結合は、ホスホロチオエート結合であり；各シトシンは、５－メチルシトシンであり；および前記コンジュゲート基は、前記修飾オリゴヌクレオチドの５’末端に位置し、且つ

【化２】

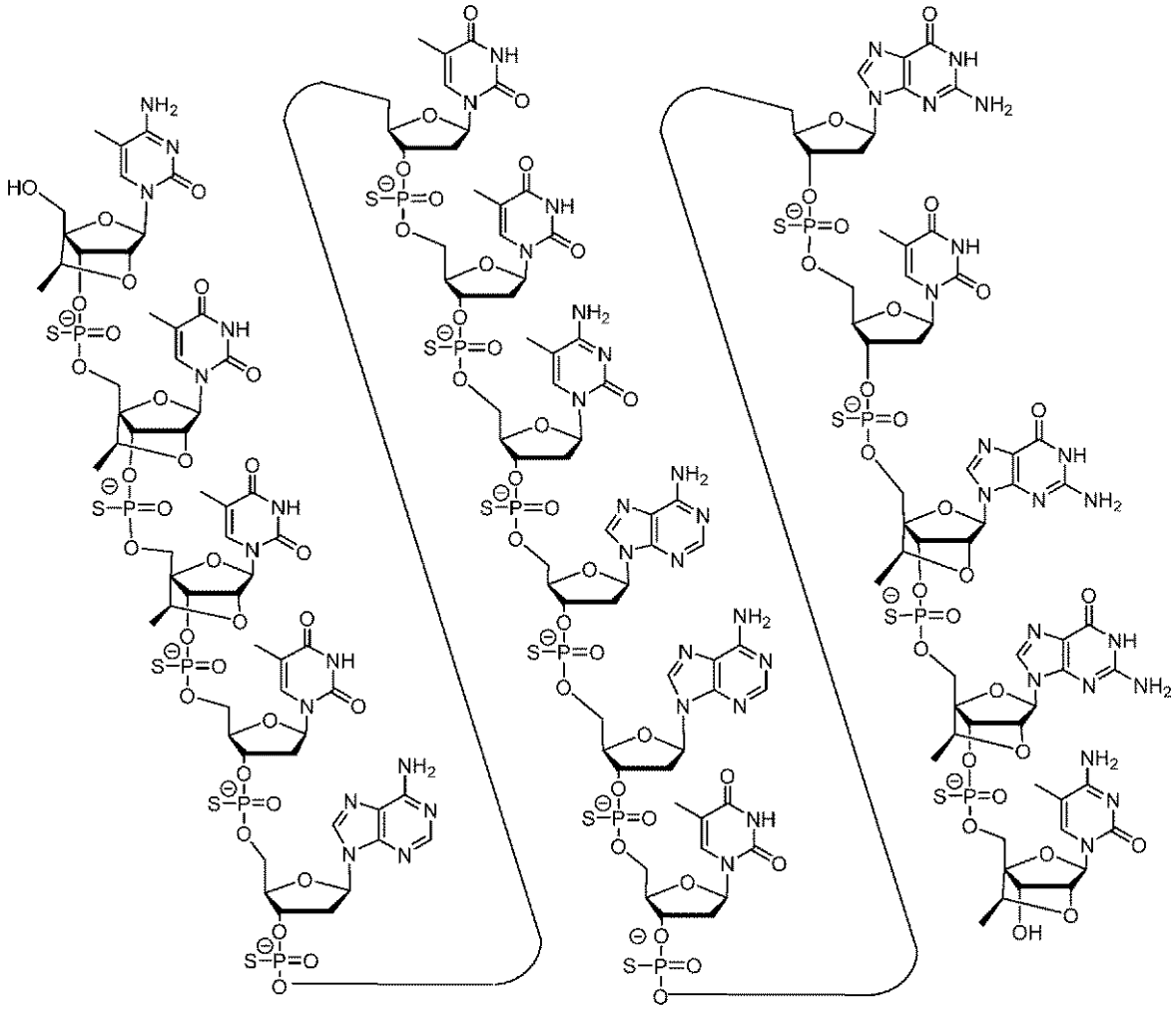


である、修飾オリゴヌクレオチド及びコンジュゲート基。

【請求項３】

以下の式：

【化３】



を有する化合物（化合物の陰イオン形態は、式（配列番号１０８９）を有する）、又はその薬学的に許容され得る塩。

【請求項４】

修飾オリゴヌクレオチド及びコンジュゲート基であって、前記修飾オリゴヌクレオチドは

、１６個の結合ヌクレオシドの長さであり、且つ配列番号１０８９の配列からなり、前記修飾オリゴヌクレオチドは、
１０個の結合デオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；
３個の結合ヌクレオシドからなる５’ウイングセグメント；及び
３個の結合ヌクレオシドからなる３’ウイングセグメント
を含み、前記ギャップセグメントは、前記５’ウイングセグメントと前記３’ウイングセグメントとの間に位置し、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドは、ｃＥｔ糖を含み；各ヌクレオシド間結合は、ホスホロチオエート結合であり；各シトシンは、５－メチルシトシンである、修飾オリゴヌクレオチド及びコンジュゲート基。
【請求項５】
修飾オリゴヌクレオチド及びコンジュゲート基を含む化合物であって、前記修飾オリゴヌクレオチドは、１６個の結合ヌクレオシドの長さであり、且つ配列番号１０８９の配列からなり、前記修飾オリゴヌクレオチドは、
１０個の結合デオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；
３個の結合ヌクレオシドからなる５’ウイングセグメント；及び
３個の結合ヌクレオシドからなる３’ウイングセグメント
を含み、前記ギャップセグメントは、前記５’ウイングセグメントと前記３’ウイングセグメントとの間に位置し、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドは、ｃＥｔ糖を含み；各ヌクレオシド間結合は、ホスホロチオエート結合であり；各シトシンは、５－メチルシトシンである、化合物。
【請求項６】
修飾オリゴヌクレオチドであって、前記修飾オリゴヌクレオチドは、１６個の結合ヌクレオシドの長さであり、且つ配列番号１０８９の配列からなり、前記修飾オリゴヌクレオチドは、
１０個の結合デオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；
３個の結合ヌクレオシドからなる５’ウイングセグメント；及び
３個の結合ヌクレオシドからなる３’ウイングセグメント
を含み、前記ギャップセグメントは、前記５’ウイングセグメントと前記３’ウイングセグメントとの間に位置し、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドは、ｃＥｔ糖を含み；各ヌクレオシド間結合は、ホスホロチオエート結合であり；各シトシンは、５－メチルシトシンである、修飾オリゴヌクレオチド。
【請求項７】
薬学的に許容され得る塩は、ナトリウム塩である、請求項１または３に記載の化合物。
【請求項８】
薬学的に許容され得る塩は、カリウム塩である、請求項１または３に記載の化合物。
【請求項９】
請求項１、３および５のいずれか一項に記載の化合物と、薬学的に許容され得る担体とを含む医薬組成物。
【請求項１０】
請求項２、４および６のいずれか一項に記載の修飾オリゴヌクレオチドと、薬学的に許容され得る担体とを含む医薬組成物。