

【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29年11月9日 (2017.11.9)

【公開番号】特開2017-121243(P2017-121243A)

【公開日】平成29年7月13日 (2017.7.13)

【年通号数】公開・登録公報2017-026

【出願番号】特願2017-17429(P2017-17429)

【国際特許分類】

**C 1 2 N 15/09 (2006.01)**

A 6 1 P 37/06 (2006.01)

A 6 1 P 29/00 (2006.01)

A 6 1 P 31/00 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 11/00 (2006.01)

A 6 1 P 1/00 (2006.01)

A 6 1 P 21/00 (2006.01)

A 6 1 P 5/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 13/00 (2006.01)

A 6 1 P 17/00 (2006.01)

A 6 1 P 7/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/7115 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/00 Z N A A

A 6 1 P 37/06

A 6 1 P 29/00

A 6 1 P 31/00

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 11/00

A 6 1 P 1/00

A 6 1 P 21/00

A 6 1 P 5/00

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 13/00

A 6 1 P 17/00

A 6 1 P 7/00

A 6 1 K 31/7115

【手続補正書】

【提出日】平成29年9月29日 (2017.9.29)

【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】

複数の脂質ナノ粒子を含む組成物であって、前記複数の脂質ナノ粒子はポリヌクレオチドを封入しており、前記ポリヌクレオチドは、

(a) 修飾ウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシンヌクレオチドからなり、ポリペプチドをコードするオープンリーディングフレームと、

(b) コザック配列を含む 5' UTR と、

(c) 少なくとも 1 つの 5' キャップ構造と、

(d) 3' UTR と、

(e) 結合ヌクレオシドの 3' 尾部配列とを含み、

哺乳類細胞に投与されると、前記ポリヌクレオチドは、シュードウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシンを含むヌクレオチドからなるオープンリーディングフレームを有する対応するポリヌクレオチドに対して、コードされたポリペプチドの発現を増加させる組成物。

## 【請求項 2】

前記オープンリーディングフレームは、1 - メチル - シュードウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシン、または、5 - メトキシ - ウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシンから選択されるヌクレオチドからなる、請求項 1 に記載の組成物。

## 【請求項 3】

前記複数の脂質ナノ粒子は、カチオン性脂質、PEG 化脂質、コレステロール、およびリン脂質を含む、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

## 【請求項 4】

前記カチオン性脂質は、DLin - DMA、DLin - K - DMA、DLin - KC2 - DMA、98N12 - 5、C12 - 200、DLin - MC3 - DMA、DODMA、DSDMA、またはDLenDMAである、請求項 3 に記載の組成物。

## 【請求項 5】

前記複数の脂質ナノ粒子は、80 nm ~ 160 nm の平均粒径、0.02 ~ 0.2 の平均 PDI、および 10 ~ 20 の平均脂質：ポリヌクレオチド比（重量 / 重量）を有する、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の組成物。

## 【請求項 6】

前記結合ヌクレオシドの 3' 尾部配列は、約 160 個のヌクレオチドのポリ A 尾部およびポリ A ~ G 四重項のうちから選択される、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の組成物。

## 【請求項 7】

前記少なくとも 1 つの 5' 末端キャップが、キャップ 0、キャップ 1、ARCA、イノシン、N1 - メチル - グアノシン、2' フルオロ - グアノシン、7 - デアザ - グアノシン、8 - オキソ - グアノシン、2 - アミノ - グアノシン、LNA - グアノシン、および 2 - アジド - グアノシンのうちから選択される、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の組成物。

## 【請求項 8】

哺乳類細胞に投与されると、前記ポリヌクレオチドは、ウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシンを含むヌクレオチドからなるオープンリーディングフレームを有する対応するポリヌクレオチドに対して長い半減期または大きいタンパク質発現曲線下面積を有する、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の組成物。

## 【請求項 9】

末梢血単核細胞に投与されると、前記ポリヌクレオチドは、ウリジン、シチジン、アデノシンおよびグアノシンを含むヌクレオチドからなるオープンリーディングフレームを有する対応するポリヌクレオチドに対して、より低いレベルの検出可能な IFN - または TNF - をもたらす、請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の組成物。