

【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、ショードウリジン、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-ショードウリジン、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DLEN-DMA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、80nm～160nm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ア尾部およびポリア～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】

末梢血单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。