

【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6年9月25日(2024.9.25)

【公開番号】特開2024-73525(P2024-73525A)

【公開日】令和6年5月29日(2024.5.29)

【年通号数】公開公報(特許)2024-098

【出願番号】特願2024-37853(P2024-37853)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

10

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 P 3/00(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 1/16(2006.01)

A 6 1 P 3/06(2006.01)

A 6 1 P 3/10(2006.01)

A 6 1 P 3/04(2006.01)

A 6 1 P 9/10(2006.01)

A 6 1 P 9/00(2006.01)

A 6 1 K 31/7105(2006.01)

20

A 6 1 K 47/04(2006.01)

A 6 1 K 9/12(2006.01)

A 6 1 K 47/34(2017.01)

A 6 1 K 47/44(2017.01)

A 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 K 31/713(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 31/712(2006.01)

A 6 1 K 31/7125(2006.01)

30

A 6 1 K 31/7115(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z

A 6 1 K 35/76 Z N A

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 1/16

A 6 1 P 3/06

A 6 1 P 3/10

40

A 6 1 P 3/04

A 6 1 P 9/10 1 0 1

A 6 1 P 9/00

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 47/04

A 6 1 K 9/12

A 6 1 K 47/34

A 6 1 K 47/44

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 31/713

50

A 6 1 K 31/7088
 A 6 1 K 48/00
 A 6 1 K 31/712
 A 6 1 K 31/7125
 A 6 1 K 31/7115
 C 1 2 N 15/8641 0 0 Z

【手続補正書】

【提出日】令和6年9月13日(2024.9.13)

【手続補正1】

10

【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】

以下を含む、miR-379およびmiR-541を阻害するための組成物：

(a) miR-379に相補的であるかまたはそれにハイブリダイズするヌクレオチド配列を含む核酸分子、および

(b) miR-541に相補的であるかまたはそれにハイブリダイズするヌクレオチド配列を含む核酸分子。

20

【請求項2】

miR-379の一部が、6個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 1によるヌクレオチド配列を有する、および

miR-541の一部が、8個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 2または6によるヌクレオチド配列を有する、

請求項1記載の組成物。

【請求項3】

前記核酸分子が、少なくとも10個のヌクレオチドを含む核酸配列を含む、請求項1または2のいずれか記載の組成物。

30

【請求項4】

前記核酸分子が、タフデコイ(Tough Decoy)(TuD)、ロックド核酸(LNA)、およびアンタゴmirからなる群より選択される、請求項1~3のいずれか一項記載の組成物。

【請求項5】

核酸分子が、タフデコイRNA(TuD)である、請求項4記載の組成物。

【請求項6】

前記核酸分子が、

N-アセチルガラクトサミン(GalNAc)、ホスホロチオエートDNA(PS)、2'-O-メチルRNA(OMe)、2'-O-メトキシ-エチルRNA(MOE)、ペプチド核酸(PNA)、N^{3'}-P5'-ホスホロアミダート(NP)、2'-フルオロ-アラビノ核酸(FANA)、モルホリノホスホロアミダート(MF)、シクロヘキセン核酸(CeNA)、およびトリサイクルDNA(tc-DNA)

40

を含む核酸類似体からなる群より選択される核酸配列の化学修飾を含む、請求項1~5のいずれか一項記載の組成物。

【請求項7】

前記核酸分子が、アデノ随伴ウイルス(AAV)、レンチウイルスベクター、ポリエチレンイミン(PEI)、カチオン性リポソーム、シリカナノ粒子、PEG化PLGA、および中性脂質からなる群より選択される送達媒体に含まれる、請求項1~6のいずれか一項記載の組成物。

50

【請求項 8】

前記核酸分子が、アデノ随伴ウイルス (AAV) に含まれる、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 9】

(a) の核酸分子が、5 個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 3 によるヌクレオチド配列を含む、および/または、

(b) の核酸分子が、5 個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 4 または 7 によるヌクレオチド配列を含む、

請求項 1 ~ 8 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 10】

薬学的組成物である、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 11】

代謝性疾患を処置または予防するための薬学的組成物である、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 12】

代謝性疾患が、肥満、糖尿病、インスリン抵抗性、脂質代謝異常、および高血糖からなる群より選択される、請求項 11 記載の組成物。

【請求項 13】

miR-379 に相補的であるかまたはそれにハイブリダイズするヌクレオチド配列および miR-541 に相補的であるかまたはそれにハイブリダイズするヌクレオチド配列を含む核酸分子を含む、miR-379 および miR-541 を阻害するための組成物。

【請求項 14】

miR-379 の一部が、6 個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 1 によるヌクレオチド配列を有する、および

miR-541 の一部が、8 個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 2 または 6 によるヌクレオチド配列を有する、

請求項 13 記載の組成物。

【請求項 15】

前記核酸分子が、少なくとも 10 個のヌクレオチドを含む核酸配列を含む、請求項 13 ~ 14 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 16】

前記核酸分子が、タフデコイ (Tough Decoy) (TuD)、ロックド核酸 (LNA)、およびアンタゴミルからなる群より選択される、請求項 13 ~ 15 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 17】

前記核酸分子が、タフデコイ RNA (TuD) である、請求項 16 記載の組成物。

【請求項 18】

前記核酸分子が、

N-アセチルガラクトサミン (GalNAc)、ホスホロチオエート DNA (PS)、2'-O-メチル RNA (OMe)、2'-O-メトキシ-エチル RNA (MOE)、ペプチド核酸 (PNA)、N3'-P5'-ホスホロアミダート (NP)、2'-フルオロ-アラビノ核酸 (FANA)、モルホリノホスホロアミダート (MF)、シクロヘキセン核酸 (CeNA)、およびトリサイクル DNA (tc-DNA)

を含む核酸類似体からなる群より選択される核酸配列の化学修飾を含む、請求項 13 ~ 17 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 19】

前記核酸分子が、アデノ随伴ウイルス (AAV)、レンチウイルスベクター、ポリエチレンイミン (PEI)、カチオン性リポソーム、シリカナノ粒子、PEG 化 PLGA、および中性脂質からなる群より選択される送達媒体に含まれる、請求項 13 ~ 18 のいずれか一項記載の組成物。

10

20

30

40

50

【請求項 2 0】

前記核酸分子が、アデノ随伴ウイルス (AAV) に含まれる、請求項 13 ~ 19 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 2 1】

前記核酸分子が、5個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 3のヌクレオチド配列、および/または、5個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 4または7のヌクレオチド配列を含む、請求項 13 ~ 20 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 2 2】

前記核酸分子が、10個以下のヌクレオチドが置換された、SEQ ID NO: 5または8のヌクレオチド配列を含む、請求項 13 ~ 21 のいずれか一項記載の組成物。

10

【請求項 2 3】

薬学的組成物である、請求項 13 ~ 22 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 2 4】

代謝性疾患を処置または予防するための薬学的組成物である、請求項 13 ~ 23 のいずれか一項記載の組成物。

【請求項 2 5】

代謝性疾患が、肥満、糖尿病、インスリン抵抗性、脂質代謝異常、および高血糖からなる群より選択される、請求項 24 記載の組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

20

【補正対象項目名】0047

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0047】

以下の配列が本明細書において提供される：

SEQ ID NO: 1

RNA ホモ・サピエンス (H. sapiens)

miR-379-5p

太字：インヒビター-SEQ ID NO: 3に相補的な配列

5'-**UGGUAGACUAUGGAACGUAGG**-3'

30

SEQ ID NO: 6

RNA ホモ・サピエンス

miR-541-5p

太字：インヒビター-SEQ ID NO: 7に相補的な配列

5'-**AAAGGAUUCUGCUGUCGGUCCCACU**-3'

SEQ ID NO: 3

DNA人工

miR-379のインヒビター

5'-**GTTCCATAGTCTACC**-3'

40

SEQ ID NO: 7

DNA人工

miR-541のインヒビター

5'-**CGACAGCAGAATCCTT**-3'

SEQ ID NO: 8

RNA人工

TuDに含まれるmiR-379およびmiR-541に対する阻害配列

50

5'-GACGGCGCUA GGAUCAUCAA CAGUGGGACC GACAGCAUCU AGAAUCCUUU
 CAAGUAUUCU GGUCACAGAA UACAACCCUA CGUUCCAAUC UUAGUCUACC
 ACAAGAUGAU CCUAGCGCCGUC-3'

【 手続補正 3 】

【 補正対象書類名 】 明細書

【 補正対象項目名 】 0 0 5 3

【 補正方法 】 削除

【 補正の内容 】

10

【 手続補正 4 】

【 補正対象書類名 】 明細書

【 補正対象項目名 】 配列表

【 補正方法 】 変更

【 補正の内容 】

【 配列表 】

202407352500001.xml

20

30

40

50