

【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3部門第2区分

【発行日】令和3年11月11日(2021.11.11)

【公表番号】特表2020-537652(P2020-537652A)

【公表日】令和2年12月24日(2020.12.24)

【年通号数】公開・登録公報2020-052

【出願番号】特願2020-521444(P2020-521444)

【国際特許分類】

A 6 1 K	47/65	(2017.01)
A 6 1 K	31/7088	(2006.01)
A 6 1 P	31/12	(2006.01)
A 6 1 P	31/04	(2006.01)
A 6 1 P	21/00	(2006.01)
A 6 1 P	31/16	(2006.01)
C 0 7 K	7/08	(2006.01)
C 0 7 K	7/06	(2006.01)
C 1 2 N	15/113	(2010.01)

【F I】

A 6 1 K	47/65	
A 6 1 K	31/7088	
A 6 1 P	31/12	
A 6 1 P	31/04	
A 6 1 P	21/00	
A 6 1 P	31/16	
C 0 7 K	7/08	Z N A
C 0 7 K	7/06	
C 1 2 N	15/113	Z

【手続補正書】

【提出日】令和3年9月28日(2021.9.28)

【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

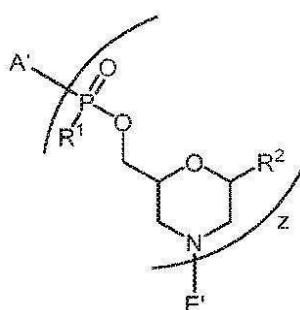
【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

式Iのペプチド-オリゴヌクレオチドコンジュゲート：

【化56】

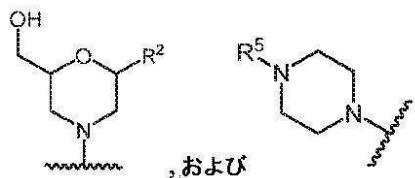


(I)

または薬学的に許容されるその塩であつて、式中、

$A'$  は、 $-NHCH_2C(O)NH_2$ 、 $-N(C_{1~6}-\text{アルキル})CH_2C(O)NH$

<sup>2</sup>、  
【化57】



から選択され、式中、

$R^5$  は、 $-C(O)(O-\text{アルキル})_x-OH$  であり、 $x$  は、3~10 であり、各アルキル基は、各出現において独立して、 $C_{2~6}-\text{アルキル}$  であるか、または  $R^5$  は、 $-C(O)C_{1~6}-\text{アルキル}$ 、トリチル、モノメトキシトリチル、 $- (C_{1~6}-\text{アルキル})R^6$ 、 $- (C_{1~6}-\text{ヘテロアルキル})R^6$ 、アリール- $R^6$ 、ヘテロアリール- $R^6$ 、 $-C(O)O-(C_{1~6}-\text{アルキル})R^6$ 、 $-C(O)O-\text{アリール}R^6$ 、 $-C(O)O-\text{ヘテロアリール}R^6$ 、および

【化58】



から選択され、

式中、 $R^6$  は、 $OH$ 、 $SH$  および  $NH_2$  から選択されるか、または  $R^6$  は、固体支持体に共有結合的に連結している  $O$ 、 $S$  もしくは  $NH$  であり、

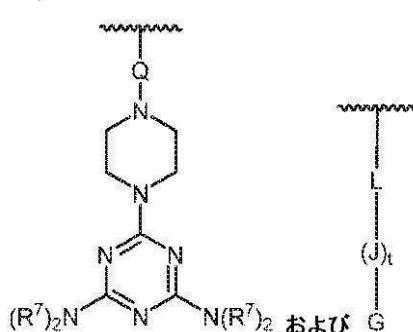
各  $R^1$  は、 $OH$  および  $-NR^3R^4$  から独立して選択され、各  $R^3$  および  $R^4$  は、各出現において独立して、 $-C_{1~6}-\text{アルキル}$  であり、

各  $R^2$  は、 $H$ 、核酸塩基、および化学保護基で官能基化された核酸塩基から独立して選択され、前記核酸塩基は、各出現において独立して、ピリジン、ピリミジン、トリアジナン、プリンおよびデアザ-プリンから選択される  $C_{3~6}-\text{複素環式環}$  を含み、

$z$  は、8~40 であり、

$E'$  は、 $H$ 、 $-C_{1~6}-\text{アルキル}$ 、 $-C(O)C_{1~6}-\text{アルキル}$ 、ベンゾイル、ステアロイル、トリチル、モノメトキシトリチル、ジメトキシトリチル、トリメトキシトリチル、

【化59】



から選択され、式中、

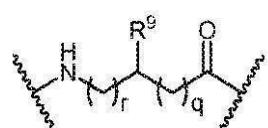
Q は、 - C ( O ) ( C H<sub>2</sub> )<sub>6</sub> C ( O ) - または - C ( O ) ( C H<sub>2</sub> )<sub>2</sub> S<sub>2</sub> ( C H<sub>2</sub> )<sub>2</sub> C ( O ) - であり、

R<sup>7</sup> は、 - ( C H<sub>2</sub> )<sub>2</sub> O C ( O ) N ( R<sup>8</sup> )<sub>2</sub> であり、 R<sup>8</sup> は、 - ( C H<sub>2</sub> )<sub>6</sub> N H C ( = N H ) N H<sub>2</sub> であり、

L は、 J のアミノ末端にアミド結合によって共有結合的に連結しており、 L は、 - C ( O ) ( C H<sub>2</sub> )<sub>1~6</sub> - C<sub>1~6</sub> - ヘテロ芳香族 - ( C H<sub>2</sub> )<sub>1~6</sub> C ( O ) であり、 t は、 4~16 であり、

各 J は、各出現において独立して、構造

【化 6 0】



のアミノ酸から選択され、

式中、

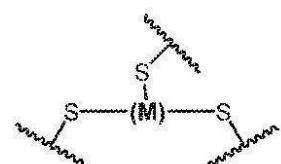
r および q は、それぞれ独立して、0、1、2、3 または 4 であり、

各 R<sup>9</sup> は、各出現において独立して、H、アミノ酸側鎖、および保護基で官能基化されたアミノ酸側鎖から選択され、

R<sup>9</sup> の 3 または 4 個のアミノ酸側鎖は、各出現において独立して、硫黄原子を含み、

a ) 硫黄原子の数が 3 である場合には、前記硫黄原子は、それらが付着している原子と一緒にになって、構造

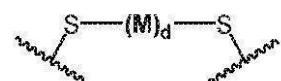
【化 6 1】



を形成し、それにより、前記アミノ酸が二環式構造を形成するか、または

b ) 硫黄原子の数が 4 である場合には、前記硫黄原子は、それらが付着している原子と一緒にになって、構造

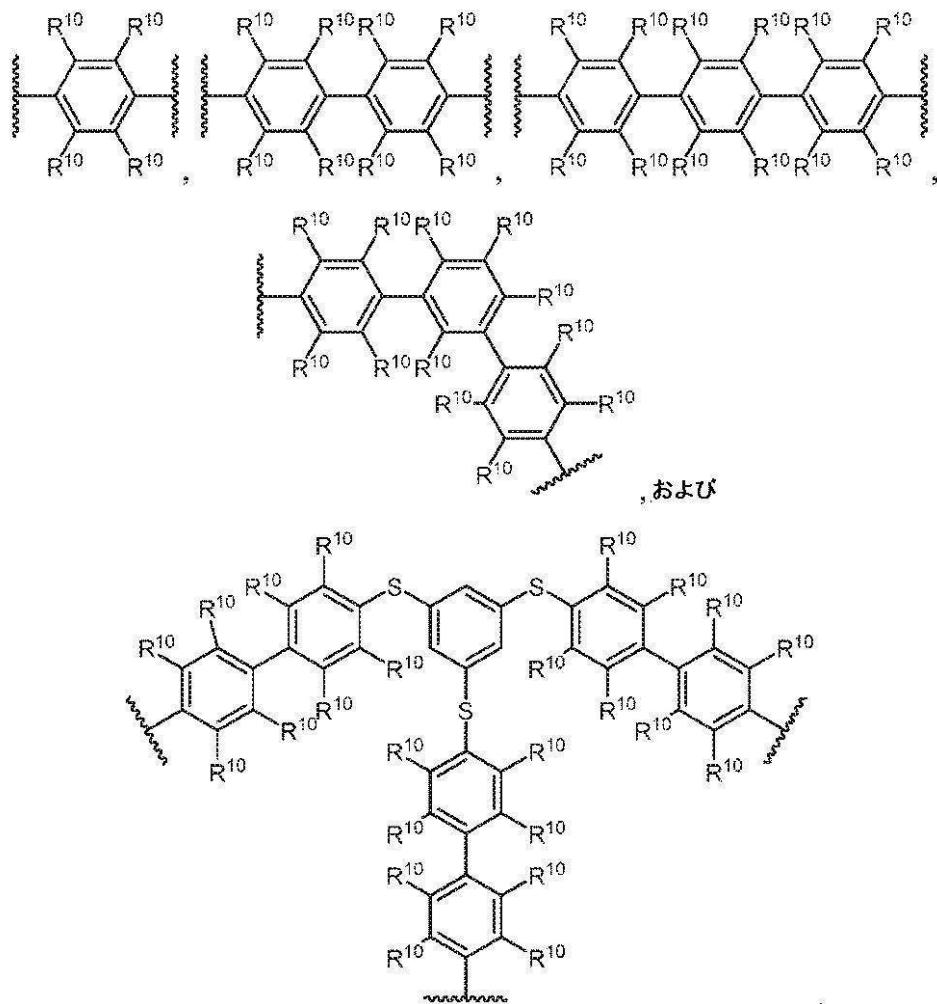
【化 6 2】



の 2 回の出現を形成し、それにより、前記アミノ酸が二環式構造を形成し、

式中、d は、0 または 1 であり、M は、

## 【化 6 3】



から選択され、

式中、各  $R^{10}$  は、各出現において独立して、H またはハロゲンであり、

G は、J のカルボキシ末端にアミド結合によって共有結合的に連結しており、G は、H、  
-C(O)C<sub>1~6</sub>-アルキル、ベンゾイルおよびステアロイルから選択され、

下記の条件の少なくとも 1 つが真である：

1 ) A' は、

【化 6 4】



であるか、または 2 ) E' は、

## 【化 6 5】



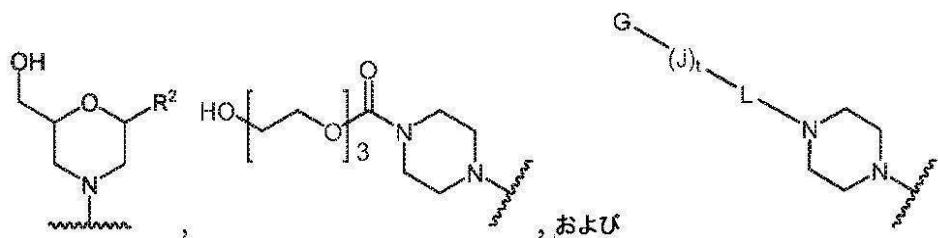
である、

ペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲートまたは薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 2】

A' が、 - N ( C<sub>1 ~ 6</sub> - アルキル ) C H<sub>2</sub> C ( O ) N H<sub>2</sub> 、

## 【化 6 6】



から選択される、請求項 1 に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 3】

E' が、 H 、 - C ( O ) C H<sub>3</sub> 、ベンゾイル、ステアロイル、トリチル、4 - メトキシトリチル、および

## 【化 6 7】

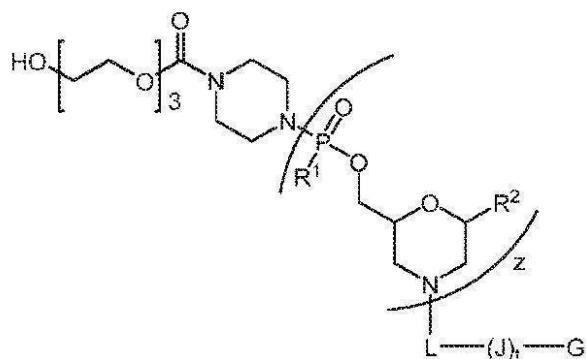


から選択される、請求項 1 から 2 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

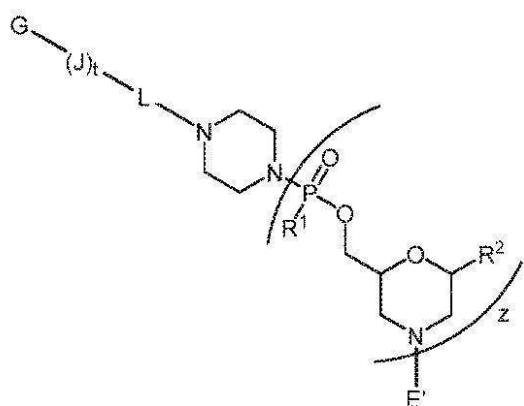
## 【請求項 4】

前記式 I のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲートが、

## 【化68】



(Ia); および



(Ib)

から選択されるペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲートであり、式中、E'は、H、C<sub>1～6</sub>-アルキル、-C(O)CH<sub>3</sub>、ベンゾイルおよびステアロイルから選択される、請求項1に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項5】

式(Ia)のものである、請求項1または4に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項6】

式(Ib)のものである、請求項1または4に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

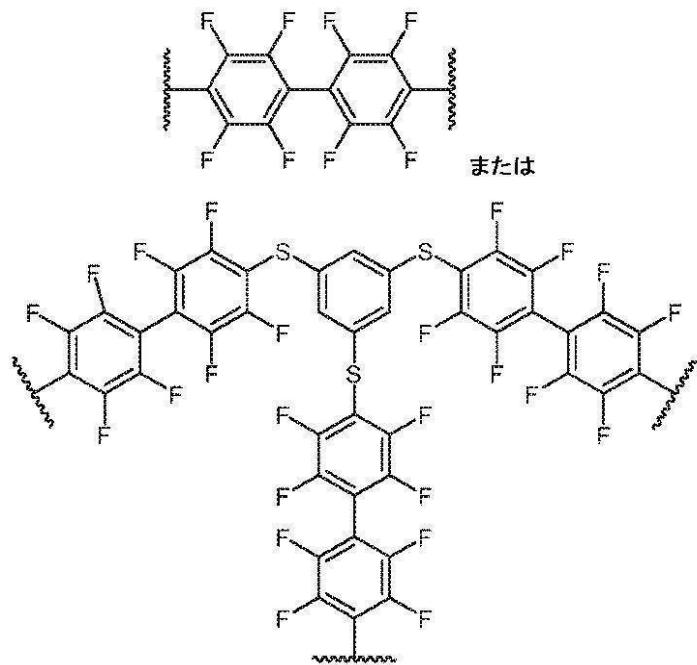
## 【請求項7】

各R<sup>1～6</sup>が、フッ素である、請求項1から6のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項8】

Mが、

## 【化 6 9】



である、請求項 1 から 7 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 9】

各 J が、システインおよびアルギニンから独立して選択される、請求項 1 から 8 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 10】

3 個の J 基が、システインである、請求項 1 から 9 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 11】

4 個の J 基が、システインである、請求項 1 から 10 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 12】

各 R<sup>1</sup> が、N (CH<sub>3</sub>)<sub>2</sub> である、請求項 1 から 11 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 13】

各 R<sup>2</sup> が、各出現において独立して、アデニン、グアニン、シトシン、5 - メチル - シトシン、チミン、ウラシルおよびヒポキサンチンから選択される核酸塩基である、請求項 1 から 12 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

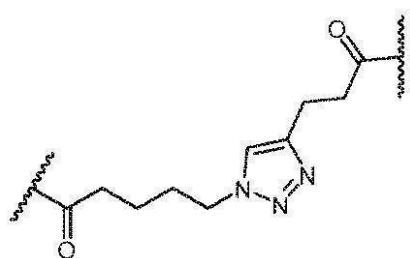
## 【請求項 14】

L が、- C (O) (CH<sub>2</sub>)<sub>1 ~ 6</sub> - トリアゾール - (CH<sub>2</sub>)<sub>1 ~ 6</sub> C (O) - である、請求項 1 から 13 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 15】

L が、

## 【化70】



である、請求項 1 から 14 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 16】

G が、H、C(O)CH<sub>3</sub>、ベンゾイルおよびステアロイルから選択される、請求項 1 から 15 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 17】

G が、H である、請求項 1 から 16 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 18】

d が、1 である、請求項 1 から 17 に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 19】

d が、0 である、請求項 1 から 18 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 20】

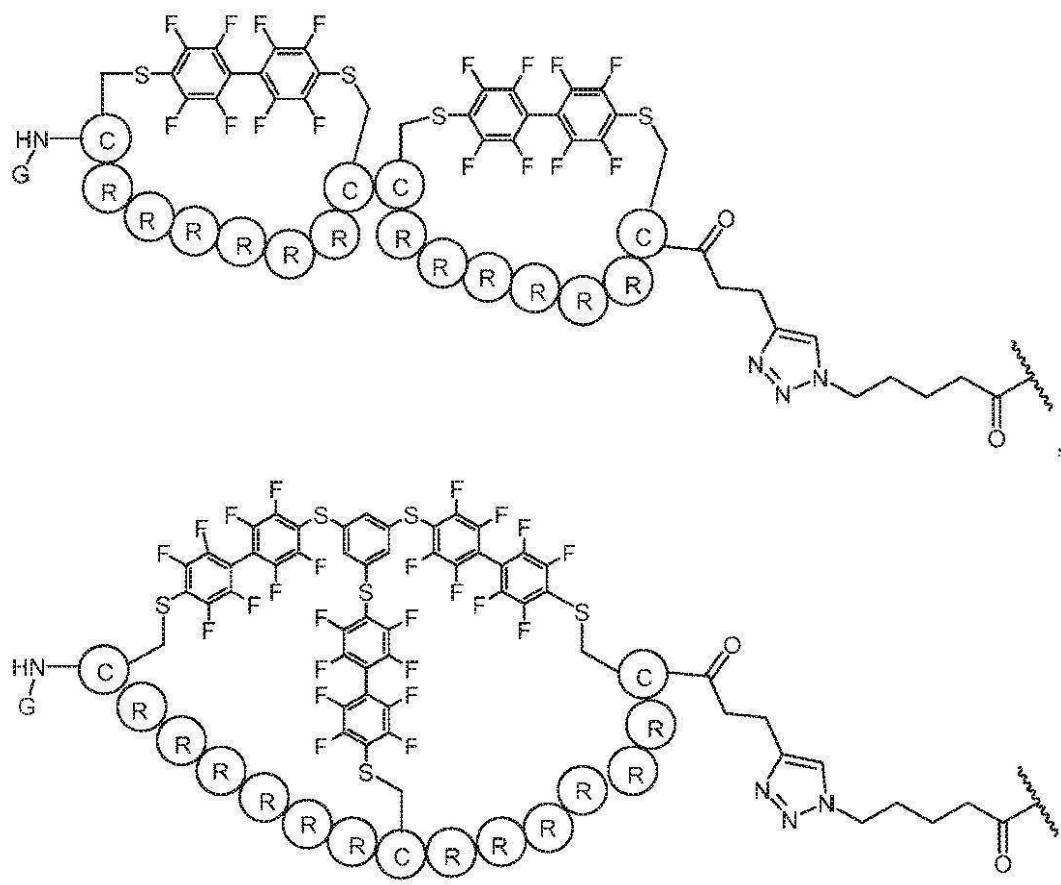
以下：

## 【化71】

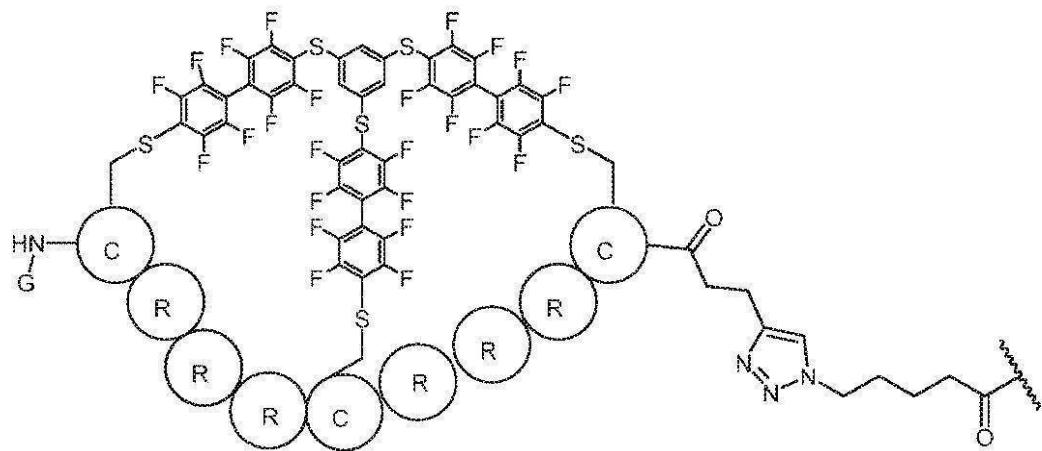


が、

## 【化 7 2】



または



から選択される、請求項 1 から 19 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩であって、

式中、R は、アルギニンであり、C は、システインであり、

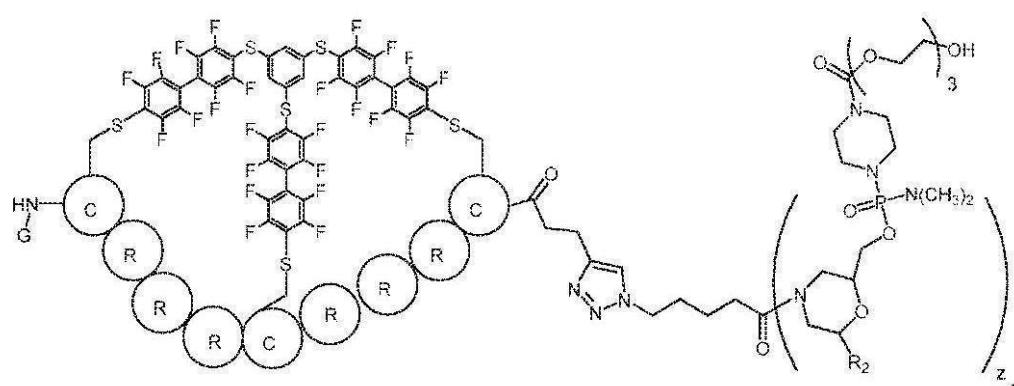
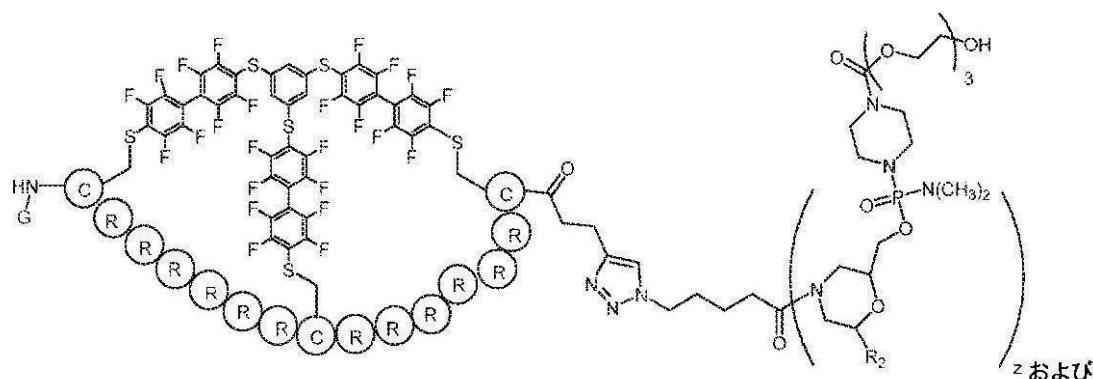
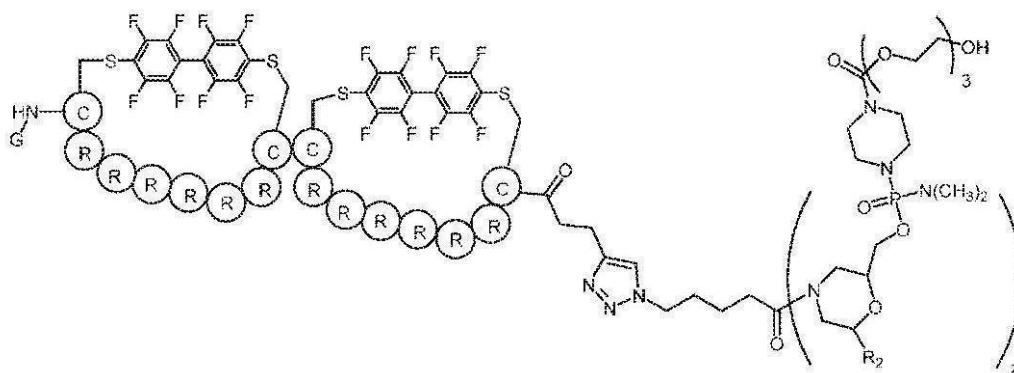
G は、H、C(O)CH<sub>3</sub>、ベンゾイルおよびステアロイルから選択され、G は、前記ペプチドのカルボキシ末端にアミド結合によって共有結合的に連結している、

ペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項 2 1】

以下：

## 【化73】



から選択される、請求項1から18および20のいずれか一項に記載のペプチド-オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩であって、式中、

Gは、Hまたは-C(O)CH<sub>3</sub>であり、Gは、前記ペプチドのカルボキシ末端にアミド結合によって共有結合しており、

Cは、システインであり、

Rは、アルギニンであり、

R<sup>2</sup>は、各出現において独立して、アデニン、グアニン、シトシン、5-メチル-シトシン、チミン、ウラシルおよびヒポキサンチンから選択される核酸塩基であり、

zは、8～40である、

ペプチド-オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

## 【請求項22】

請求項1から21のいずれか一項に記載の化合物、または薬学的に許容されるその塩と、少なくとも1つの薬学的に許容される担体とを含む、組成物。

## 【請求項23】

筋疾患、ウイルス感染症または細菌感染症の処置を必要とする被験体において、筋疾患、ウイルス感染症または細菌感染症を処置するための、請求項 1 から 21 のいずれか一項に記載の化合物、もしくは薬学的に許容されるその塩を含む組成物、または請求項 22 に記載の組成物。

**【請求項 24】**

前記筋疾患が、デュシェンヌ型筋ジストロフィーである、請求項 23 に記載の組成物。

**【請求項 25】**

前記ウイルス感染症が、マールブルグウイルス、エボラウイルス、インフルエンザウイルスおよびデングウイルスからなる群より選択されるウイルスによって引き起こされる、請求項 23 に記載の組成物。

**【手続補正 2】**

**【補正対象書類名】明細書**

**【補正対象項目名】0182**

**【補正方法】変更**

**【補正の内容】**

**【0182】**

均等物

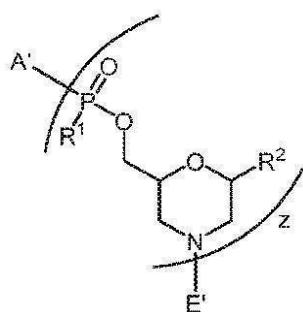
当業者ならば、日常実験以上のものを使用することなく、本明細書において記載されている開示の具体的な実施形態の多くの均等物を認識または解明することができるであろう。そのような均等物は、下記の特許請求の範囲によって包含されるように意図されている。

特定の実施形態では、例えば以下の項目が提供される。

**(項目 1)**

式 I のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート：

**【化 56】**

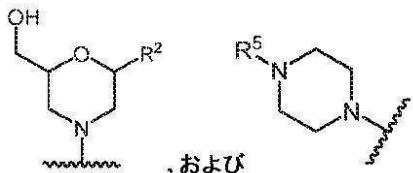


(I)

または薬学的に許容されるその塩であって、式中、

A' は、-NHCH<sub>2</sub>C(=O)NH<sub>2</sub>、-N(C<sub>1</sub>~<sub>6</sub>-アルキル)CH<sub>2</sub>C(=O)NH

**【化 57】**



から選択され、式中、

R<sup>5</sup> は、-C(=O)(O-アルキル)<sub>x</sub>-OH であり、x は、3~10 であり、各アルキル基は、各出現において独立して、C<sub>2</sub>~<sub>6</sub>-アルキルであるか、または R<sup>5</sup> は、-C(=O)(O-

O ) C <sub>1 ~ 6</sub> - アルキル、トリチル、モノメトキシトリチル、- ( C <sub>1 ~ 6</sub> - アルキル ) R <sup>6</sup>、- ( C <sub>1 ~ 6</sub> - ヘテロアルキル ) - R <sup>6</sup>、アリール - R <sup>6</sup>、ヘテロアリール - R <sup>6</sup>、- C ( O ) O - ( C <sub>1 ~ 6</sub> - アルキル ) - R <sup>6</sup>、- C ( O ) O - アリール - R <sup>6</sup>、- C ( O ) O - ヘテロアリール - R <sup>6</sup>、および

## 【化 5 8】



から選択され、

式中、R <sup>6</sup> は、O H、S H および N H <sub>2</sub> から選択されるか、または R <sup>6</sup> は、固体支持体に共有結合的に連結しているO、S もしくはN H であり、

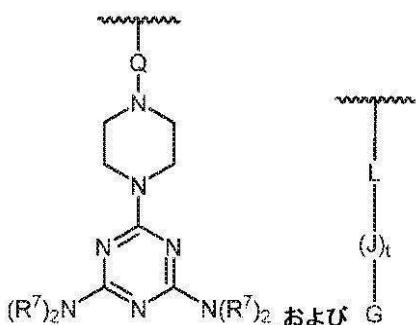
各 R <sup>1</sup> は、O H および - N R <sup>3</sup> R <sup>4</sup> から独立して選択され、各 R <sup>3</sup> および R <sup>4</sup> は、各出現において独立して、- C <sub>1 ~ 6</sub> - アルキルであり、

各 R <sup>2</sup> は、H、核酸塩基、および化学保護基で官能基化された核酸塩基から独立して選択され、前記核酸塩基は、各出現において独立して、ピリジン、ピリミジン、トリアジナン、プリンおよびデアザ - プリンから選択される C <sub>3 ~ 6</sub> - 複素環式環を含み、

z は、8 ~ 40 であり、

E ' は、H、- C <sub>1 ~ 6</sub> - アルキル、- C ( O ) C <sub>1 ~ 6</sub> - アルキル、ベンゾイル、ステアロイル、トリチル、モノメトキシトリチル、ジメトキシトリチル、トリメトキシトリチル、

## 【化 5 9】



から選択され、式中、

Q は、- C ( O ) ( C H <sub>2</sub> ) <sub>6</sub> C ( O ) - または - C ( O ) ( C H <sub>2</sub> ) <sub>2</sub> S <sub>2</sub> ( C H <sub>2</sub> ) <sub>2</sub> C ( O ) - であり、

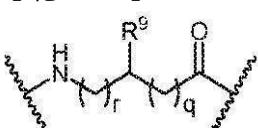
R <sup>7</sup> は、- ( C H <sub>2</sub> ) <sub>2</sub> O C ( O ) N ( R <sup>8</sup> ) <sub>2</sub> であり、R <sup>8</sup> は、- ( C H <sub>2</sub> ) <sub>6</sub> N H C ( = N H ) N H <sub>2</sub> であり、

L は、J のアミノ末端にアミド結合によって共有結合的に連結しており、L は、- C ( O ) ( C H <sub>2</sub> ) <sub>1 ~ 6</sub> - C <sub>1 ~ 6</sub> - ヘテロ芳香族 - ( C H <sub>2</sub> ) <sub>1 ~ 6</sub> C ( O ) であり、

t は、4 ~ 16 であり、

各 J は、各出現において独立して、構造

## 【化 6 0】



のアミノ酸から選択され、

式中、

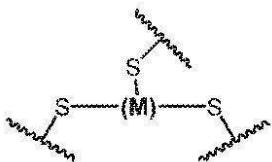
r および q は、それぞれ独立して、0、1、2、3 または 4 であり、

各 R<sup>9</sup> は、各出現において独立して、H、アミノ酸側鎖、および保護基で官能基化されたアミノ酸側鎖から選択され、

R<sup>9</sup> の 3 または 4 個のアミノ酸側鎖は、各出現において独立して、硫黄原子を含み、

a ) 硫黄原子の数が 3 である場合には、前記硫黄原子は、それらが付着している原子と一緒にになって、構造

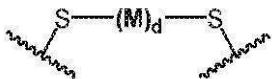
【化 6 1】



を形成し、それにより、前記アミノ酸が二環式構造を形成するか、または

b ) 硫黄原子の数が 4 である場合には、前記硫黄原子は、それらが付着している原子と一緒にになって、構造

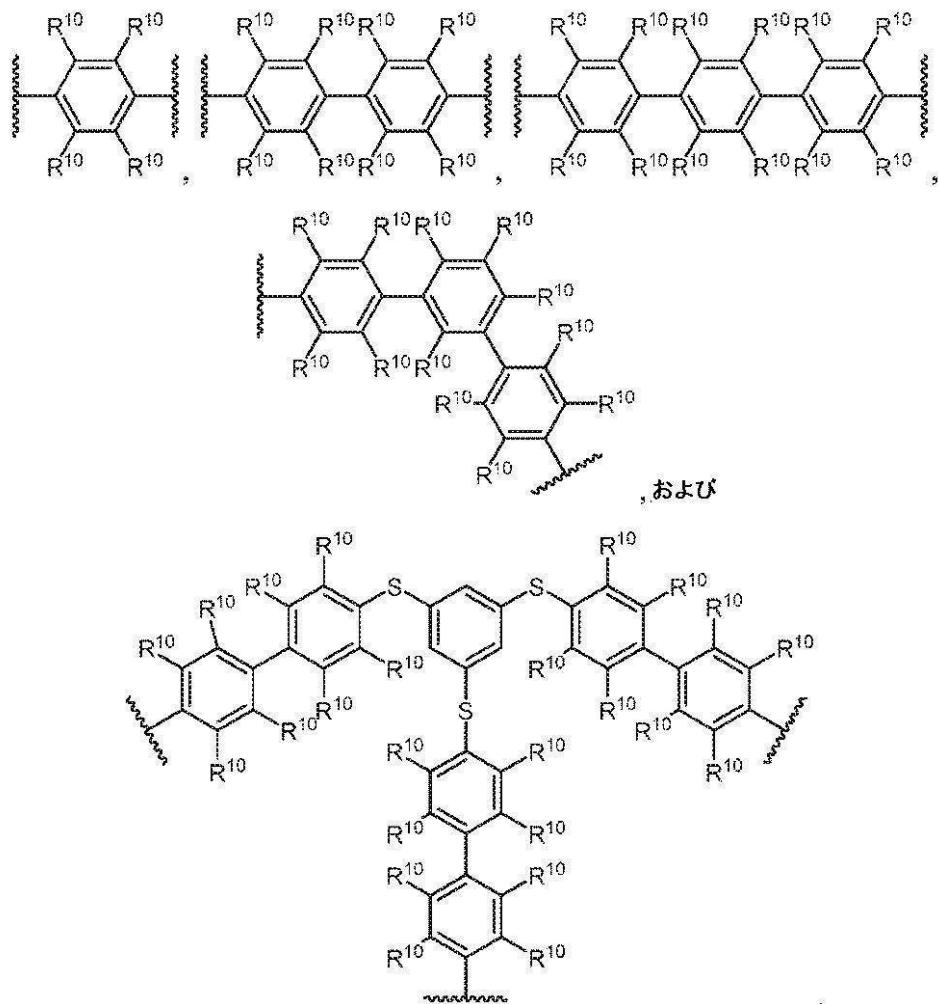
【化 6 2】



の 2 回の出現を形成し、それにより、前記アミノ酸が二環式構造を形成し、

式中、d は、0 または 1 であり、M は、

## 【化63】



から選択され、

式中、各  $R^{10}$  は、各出現において独立して、H またはハロゲンであり、

G は、J のカルボキシ末端にアミド結合によって共有結合的に連結しており、G は、H、  
-C(O)C<sub>1~6</sub>-アルキル、ベンゾイルおよびステアロイルから選択され、

下記の条件の少なくとも1つが真である：

1) A' は、

【化64】



であるか、または 2) E' は、

## 【化65】



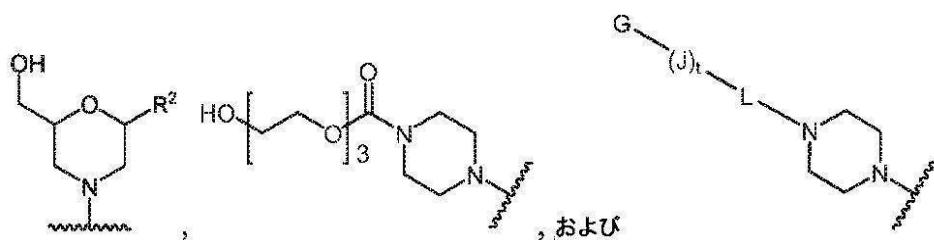
である、

ペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲートまたは薬学的に許容されるその塩。

(項目2)

A'が、-N(C<sub>1~6</sub>-アルキル)CH<sub>2</sub>C(O)NH<sub>2</sub>、

## 【化66】



から選択される、項目1に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目3)

E'が、H、-C(O)CH<sub>3</sub>、ベンゾイル、ステアロイル、トリチル、4-メトキシトリチル、および

## 【化67】

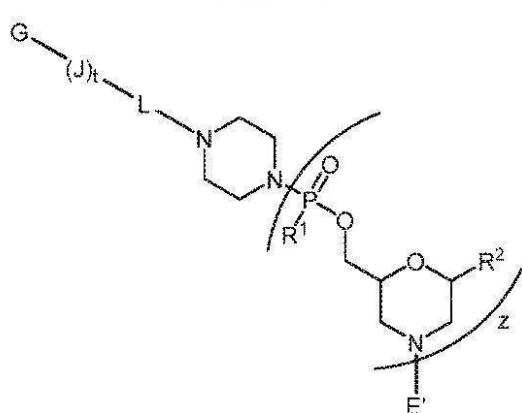
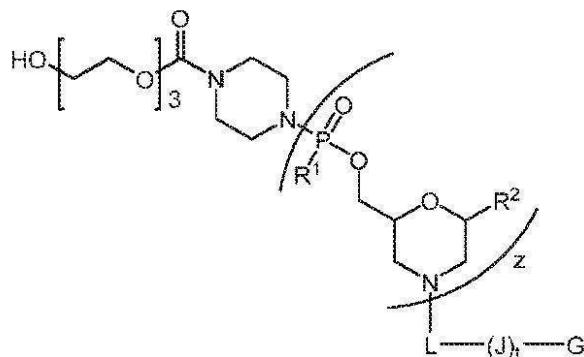


から選択される、項目1から2のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目4)

前記式Iのペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲートが、

【化68】



(Ib)

から選択されるペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲートであり、式中、E'は、H、C<sub>1～6</sub>-アルキル、-C(O)CH<sub>3</sub>、ベンゾイルおよびステアロイルから選択される、項目1に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目5)

式(Ia)のものである、項目1または4に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目6)

式(Ib)のものである、項目1または4に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

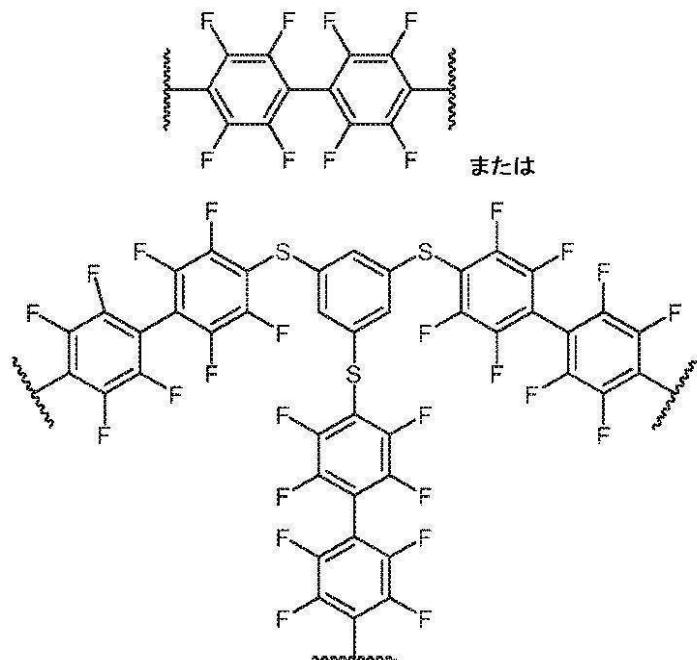
(項目7)

各R<sup>1～6</sup>が、フッ素である、項目1から6のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目8)

Mが、

【化69】



である、項目1から7のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目9)

各Jが、システインおよびアルギニンから独立して選択される、項目1から8のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目10)

3個のJ基が、システインである、項目1から9のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目11)

4個のJ基が、システインである、項目1から10のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目12)

各R<sup>1</sup>が、N(CH<sub>3</sub>)<sub>2</sub>である、項目1から11のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目13)

各R<sup>2</sup>が、各出現において独立して、アデニン、グアニン、シトシン、5-メチル - チトシン、チミン、ウラシルおよびヒポキサンチンから選択される核酸塩基である、項目1から12のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

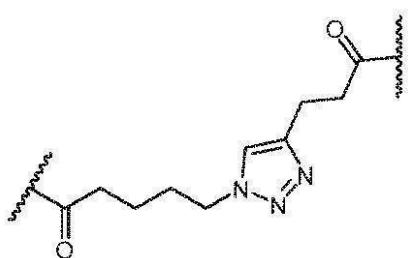
(項目14)

Lが、-C(O)(CH<sub>2</sub>)<sub>1~6</sub>-トリアゾール-(CH<sub>2</sub>)<sub>1~6</sub>C(O)-である、項目1から13のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

(項目15)

Lが、

【化 7 0】



である、項目1から14のいずれか一項に記載のペプチド・オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

( 項目 1 6 )

G が、H、C(O)CH<sub>3</sub>、ベンゾイルおよびステアロイルから選択される、項目 1 から 15 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

( 項目 17 )

G が、H である、項目 1 から 16 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

( 項目 18 )

d が、1である、項目1から17に記載のペプチド・オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

( 項目 19 )

d が、0 である、項目 1 から 18 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。

( 項目 20 )

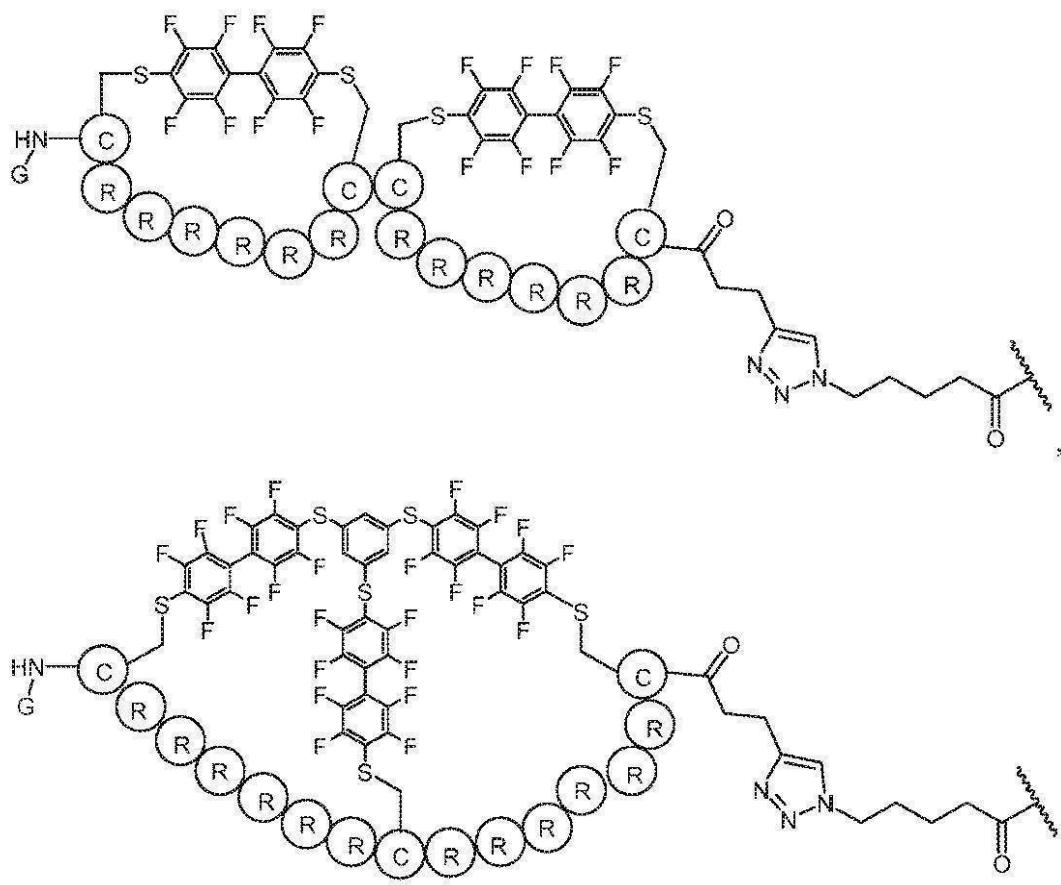
以下：

【化 7-1】

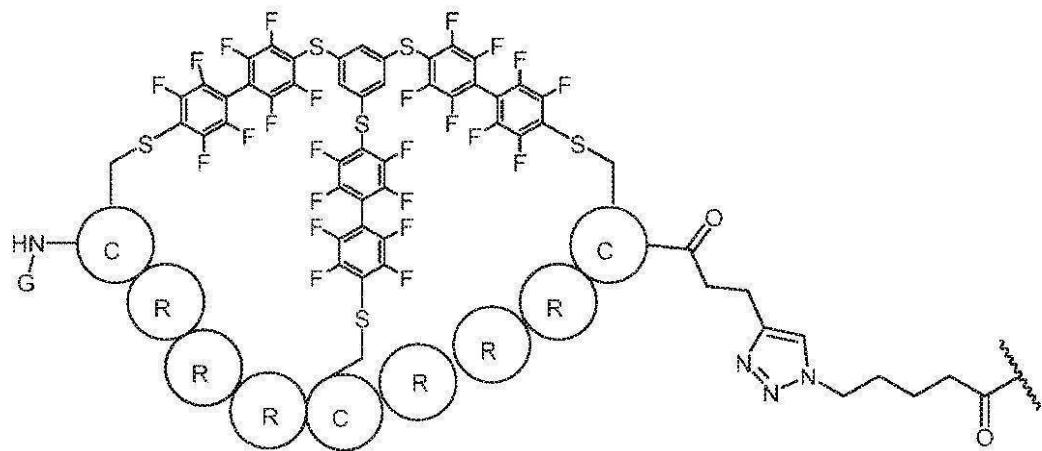


が、

【化 7 2】

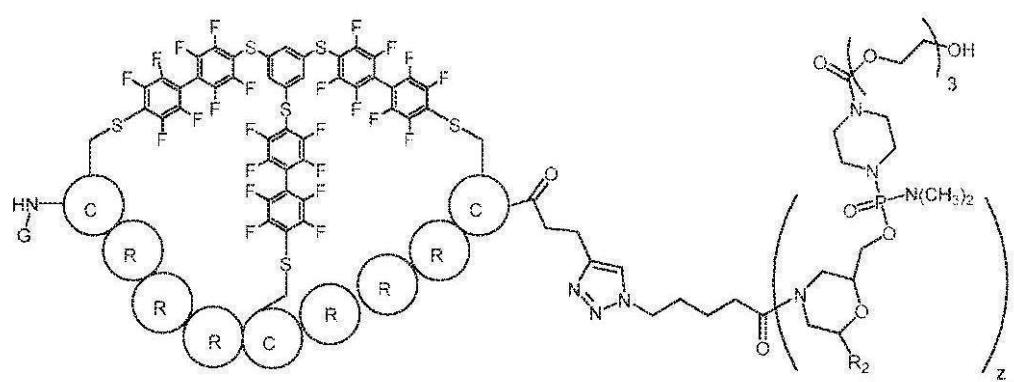
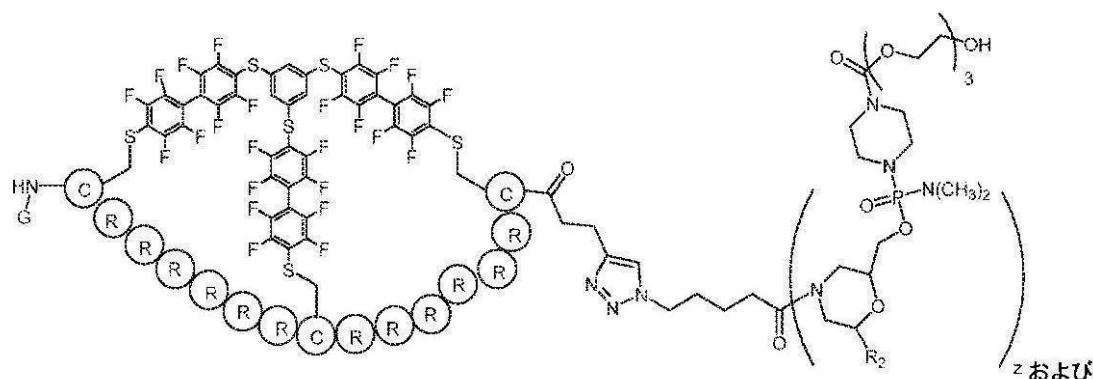
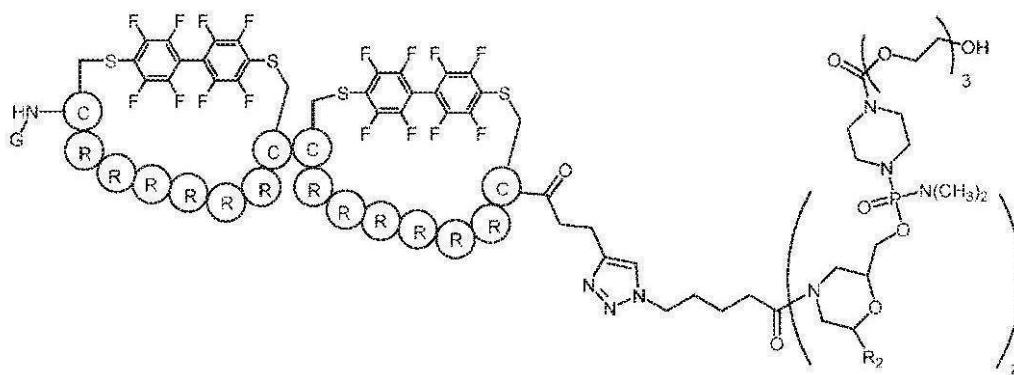


または



から選択される、項目 1 から 19 のいずれか一項に記載のペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩であって、  
式中、R は、アルギニンであり、C は、システインであり、  
G は、H、C(O)CH<sub>3</sub>、ベンゾイルおよびステアロイルから選択され、G は、前記ペ  
プチドのカルボキシ末端にアミド結合によって共有結合的に連結している、  
ペプチド - オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。  
(項目 21)  
以下：

## 【化73】



から選択される、項目1から18および20のいずれか一項に記載のペプチド-オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩であって、  
式中、

Gは、Hまたは-C(O)CH<sub>3</sub>であり、Gは、前記ペプチドのカルボキシ末端にアミド結合によって共有結合しており、

Cは、システインであり、

Rは、アルギニンであり、

R<sup>2</sup>は、各出現において独立して、アデニン、グアニン、シトシン、5-メチル-シトシン、チミン、ウラシルおよびヒポキサンチンから選択される核酸塩基であり、

zは、8～40である、

ペプチド-オリゴヌクレオチドコンジュゲート、または薬学的に許容されるその塩。  
(項目22)

項目1から21のいずれか一項に記載の化合物、または薬学的に許容されるその塩と、少なくとも1つの薬学的に許容される担体とを含む、組成物。

(項目23)

筋疾患、ウイルス感染症または細菌感染症の処置を必要とする被験体において、筋疾患、ウイルス感染症または細菌感染症を処置する方法であって、前記被験体に、項目1から21のいずれか一項に記載の化合物または項目22に記載の組成物を投与するステップを含む、方法。

(項目24)

前記筋疾患が、デュシェンヌ型筋ジストロフィーである、項目23に記載の方法。

(項目25)

前記ウイルス感染症が、マールブルグウイルス、エボラウイルス、インフルエンザウイルスおよびデングウイルスからなる群より選択されるウイルスによって引き起こされる、項目23に記載の方法。