

【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5年4月10日(2023.4.10)

【国際公開番号】WO2020/206115
 【公表番号】特表2022-524218(P2022-524218A)
 【公表日】令和4年4月28日(2022.4.28)
 【年通号数】公開公報(特許)2022-077
 【出願番号】特願2021-559064(P2021-559064)

【国際特許分類】

10

C 1 2 N 15/113(2010.01)
 A 6 1 P 3/00(2006.01)
 A 6 1 P 3/04(2006.01)
 A 6 1 P 9/00(2006.01)
 A 6 1 P 3/10(2006.01)
 A 6 1 P 35/00(2006.01)
 A 6 1 K 48/00(2006.01)
 A 6 1 K 31/7088(2006.01)
 A 6 1 K 47/54(2017.01)
 A 6 1 P 43/00(2006.01)
 A 6 1 K 45/00(2006.01)
 A 6 1 K 39/395(2006.01)
 A 6 1 P 9/10(2006.01)
 A 6 1 P 9/04(2006.01)
 A 6 1 P 9/12(2006.01)
 A 6 1 P 9/06(2006.01)
 A 6 1 P 9/08(2006.01)
 A 6 1 P 7/02(2006.01)

20

【F I】

C 1 2 N 15/113 1 2 0 Z
 C 1 2 N 15/113 Z N A
 A 6 1 P 3/00
 A 6 1 P 3/04
 A 6 1 P 9/00
 A 6 1 P 3/10
 A 6 1 P 35/00
 A 6 1 K 48/00
 A 6 1 K 31/7088
 A 6 1 K 47/54
 A 6 1 P 43/00 1 2 1
 A 6 1 K 45/00
 A 6 1 K 39/395 D
 A 6 1 K 39/395 N
 A 6 1 P 9/10 1 0 1
 A 6 1 P 9/04
 A 6 1 P 9/12
 A 6 1 P 9/06
 A 6 1 P 9/08
 A 6 1 P 7/02

30

40

50

【手続補正書】

【提出日】令和5年3月31日(2023.3.31)

【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】

アンギオポエチン様2(ANGPTL2)転写物内の核酸配列に相補的な10~30ヌクレオチド長の連続ヌクレオチド配列を含む、アンチセンスオリゴヌクレオチド(ASO)。

【請求項2】

ANGPTL2転写物内の核酸配列と少なくとも約80%、少なくとも約85%、少なくとも約90%、少なくとも約95%または約100%相補的である、請求項1に記載のASO。

【請求項3】

ANGPTL2転写物が配列番号1、配列番号2、配列番号196、配列番号197、配列番号198、配列番号199および配列番号207からなる群から選択される、請求項1または2に記載のASO。

【請求項4】

ASOが、(i) ANGPTL2タンパク質を発現するヒト細胞(例えば、SK-N-AS細胞)におけるANGPTL2タンパク質発現を低減できる、(ii) ANGPTL2転写物を発現するヒト細胞(例えば、SK-N-AS細胞)におけるANGPTL2転写物(例えば、mRNA)発現を低減できる；または(iii) (i)および(ii)の両方を低減できる、請求項1~3の何れかに記載のASO。

【請求項5】

ASOがギャップマーである、請求項1~4の何れかに記載のASO。

【請求項6】

ASOが、(i) 1以上のヌクレオシドアナログ；(ii) 1以上の5-メチル-シトシン核酸塩基；または(iii) (i)および(ii)の両方を含む、請求項5に記載のASO。

【請求項7】

ヌクレオシドアナログの1以上が、2'-O-アルキル-RNA；2'-O-メチルRNA(2'-OMe)；2'-アルコキシ-RNA；2'-O-メトキシエチル-RNA(2'-MOE)；2'-アミノ-DNA；2'-フルオロ-RNA；2'-フルオロ-DNA；アラビノ核酸(ANA)；2'-フルオロ-ANA；二環式ヌクレオシドアナログ(LNA)；またはこれらの何れかの組み合わせを含む、親和性増強2'糖修飾ヌクレオシドである、請求項6に記載のASO。

【請求項8】

LNAが拘束エチルヌクレオシド(cEt)、2',4'-拘束2'-O-メトキシエチル(c40MOE)、-L-LNA、-D-LNA、2'-O,4'-C-エチレン-架橋核酸(ENNA)、アミノ-LNA、オキシ-LNA、チオ-LNAおよびこれらの何れかの組み合わせからなる群から選択される、請求項7に記載のASO。

【請求項9】

ASOが、異常なANGPTL2発現および/または活性と関連する疾患または障害の1以上の症状の低減、軽減または処置が可能である、請求項1~8の何れかに記載のASO。

【請求項10】

連続ヌクレオチド配列が1個または2個のミスマッチを有する配列番号4~配列番号193のいずれか1つのヌクレオチド配列を含む、請求項1~9の何れかに記載のASO。

【請求項 1 1】

連続ヌクレオチド配列が図 2 における配列(配列番号 4 ~ 配列番号 1 9 3)から選択されるヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 9 の何れかに記載の A S O。

【請求項 1 2】

図 2 のデザインに一致する群から選択されるデザインを有し、ここで、大文字が糖修飾ヌクレオシドであり、小文字が D N A である、請求項 1 ~ 1 1 の何れかに記載の A S O。

【請求項 1 3】

連続ヌクレオチド配列が 1 以上の修飾ヌクレオシド間結合を含む、請求項 1 ~ 1 2 の何れかに記載の A S O。

【請求項 1 4】

請求項 1 ~ 1 3 の何れかに記載の A S O を含むコンジュゲートであって、ここで、A S O が少なくとも 1 つの非ヌクレオチドまたは非ポリヌクレオチド部分に共有結合する、コンジュゲート。

【請求項 1 5】

請求項 1 ~ 1 3 の何れかに記載の A S O または請求項 1 4 に記載のコンジュゲートおよび薬学的に許容される希釈剤、担体、塩またはアジュバントを含む、医薬組成物。

【請求項 1 6】

請求項 1 ~ 1 3 の何れかに記載の A S O、請求項 1 4 に記載のコンジュゲートまたは請求項 1 5 に記載の医薬組成物および使用のための指示を含む、キット。

【請求項 1 7】

細胞における A N G P T L 2 タンパク質発現を阻害または低減するための、請求項 1 ~ 1 3 の何れかに記載の A S O、請求項 1 4 に記載のコンジュゲートまたは請求項 1 5 に記載の医薬組成物であって、前記 A S O、コンジュゲートまたは医薬組成物を細胞と接触させることを含み、ここで、細胞における A N G P T L 2 タンパク質発現が接触後阻害または低減されるものである、A S O、コンジュゲートまたは医薬組成物。

【請求項 1 8】

処置を必要とする対象における異常な A N G P T L 2 発現および/または活性と関連する疾患または障害の 1 以上の症状を低減、軽減または処置することにおいて使用するための、請求項 1 ~ 1 3 の何れかに記載の A S O、請求項 1 4 に記載のコンジュゲートまたは請求項 1 5 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 9】

異常な A N G P T L 2 発現および/または活性と関連する疾患または障害が心血管疾患、肥満、代謝疾患、2 型糖尿病、癌またはこれらの組み合わせを含む、請求項 9 に記載の A S O または請求項 1 8 に記載の使用。

【請求項 2 0】

対象がヒトである、請求項 1 8 または 1 9 に記載の使用。

10

20

30

40

50