

【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6年4月5日(2024.4.5)

【公開番号】特開2023-145620(P2023-145620A)

【公開日】令和5年10月11日(2023.10.11)

【年通号数】公開公報(特許)2023-191

【出願番号】特願2023-122841(P2023-122841)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

10

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

C 1 2 N 15/113(2010.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088 Z N A

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 0 5

C 1 2 N 15/113 Z

【手続補正書】

20

【提出日】令和6年3月28日(2024.3.28)

【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】

a) 共通塩基配列、

b) 骨格結合の共通パターン、

30

c) 骨格キラル中心の共通パターン

を特徴とする特定のオリゴヌクレオチド型のオリゴヌクレオチドを含む組成物であって、前記オリゴヌクレオチドが、S p配置の結合リンを含む少なくとも1つのヌクレオチド間結合を含み、

前記組成物が、特定のオリゴヌクレオチドタイプのオリゴヌクレオチドに関して、同じ共通塩基配列を有するオリゴヌクレオチドの実質的ラセミ調整物と比較して、富化される点においてキラル制御され、

前記オリゴヌクレオチドがA P O C 3を標的とし、かつ

前記オリゴヌクレオチドの前記共通塩基配列が、T C A C U G A G A A U A C U G U C C C T U(配列番号1401)に相補的であるA P O C 3転写産物の一部であるかそれを含む、A P O C 3転写産物中の配列と相補的であり、各Uが、任意にかつ独立してTと置き換えられる、

組成物。

【請求項2】

複数のオリゴヌクレオチドが、5以上のキラルヌクレオチド間結合(「キラル制御されたヌクレオチド間結合」)で独立して、同じ結合リンの立体化学を共有し、

前記共通塩基配列を共有する前記組成物中の全てのオリゴヌクレオチドの少なくとも約10%が、前記複数のオリゴヌクレオチドであり、かつ

前記共通塩基配列が、15以上の核酸塩基を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

40

50

前記複数のオリゴヌクレオチドが、5以上の中核基配列で独立して、同じ結合リンの立体化学を共有し、前記共通塩基配列を共有する前記組成物中の全てのオリゴヌクレオチドの約50%~100%が、複数のオリゴヌクレオチドである、請求項2に記載の組成物。

【請求項4】

前記複数のオリゴヌクレオチドが、各ホスホロチオエートヌクレオチド間結合で独立して同じ結合リンの立体化学を共有する、請求項2に記載の組成物。

【請求項5】

前記複数のオリゴヌクレオチドが、同じ構成である、請求項2に記載の組成物。

【請求項6】

前記組成物が、液体組成物である、請求項4に記載の組成物。

10

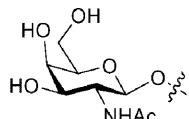
【請求項7】

前記複数のオリゴヌクレオチドが、それぞれ独立して標的化部分($R^{C,D}$)を含む、請求項2に記載の組成物。

【請求項8】

$R^{C,D}$ が、

【化1】



20

である、請求項7に記載の組成物。

【請求項9】

$R^{C,D}$ が、前記オリゴヌクレオチドに連結される、またはリンカーを介してオリゴヌクレオチドに連結される、請求項7に記載の組成物。

【請求項10】

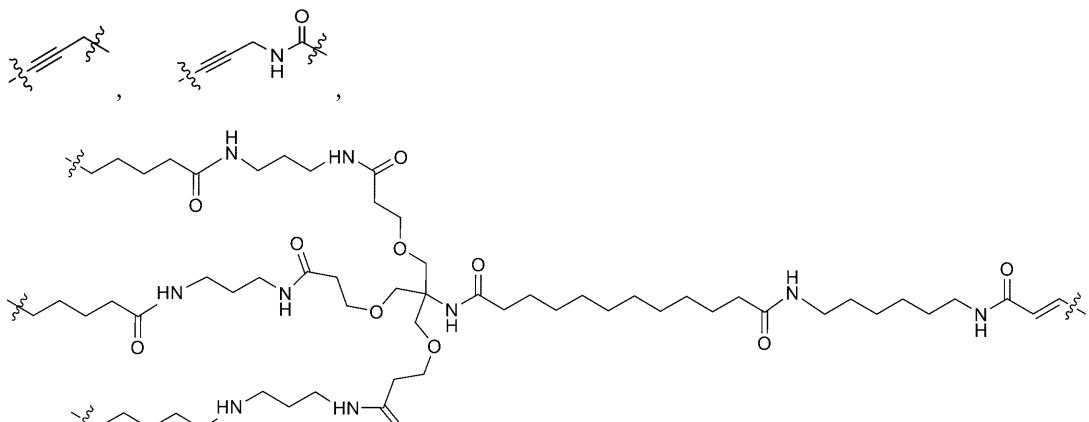
前記リンカーが、

30

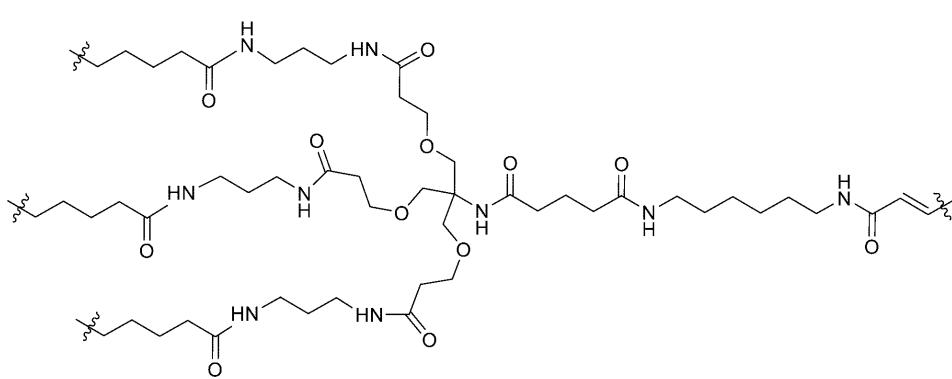
40

50

【化 2】



10

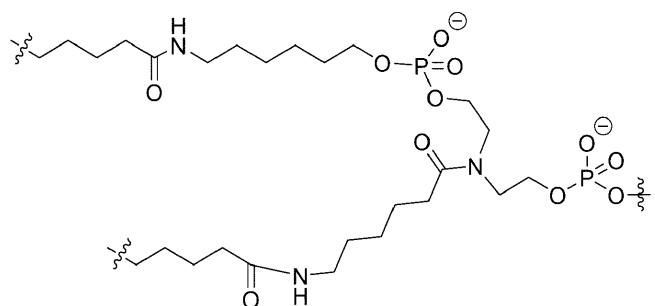
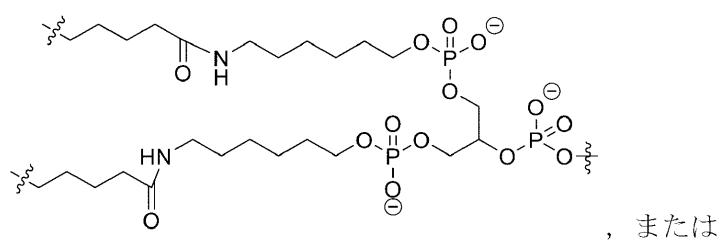
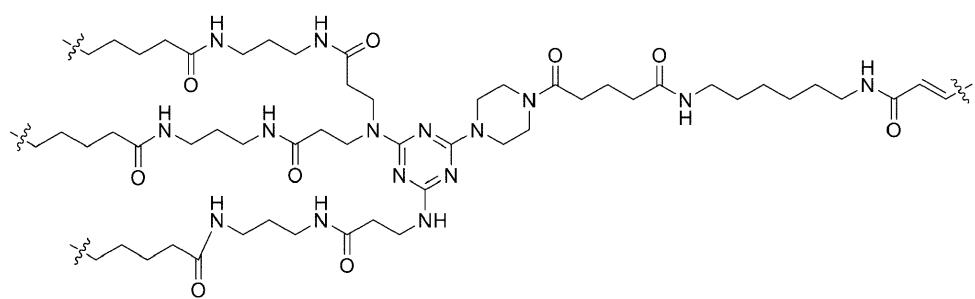


20

30

40

50

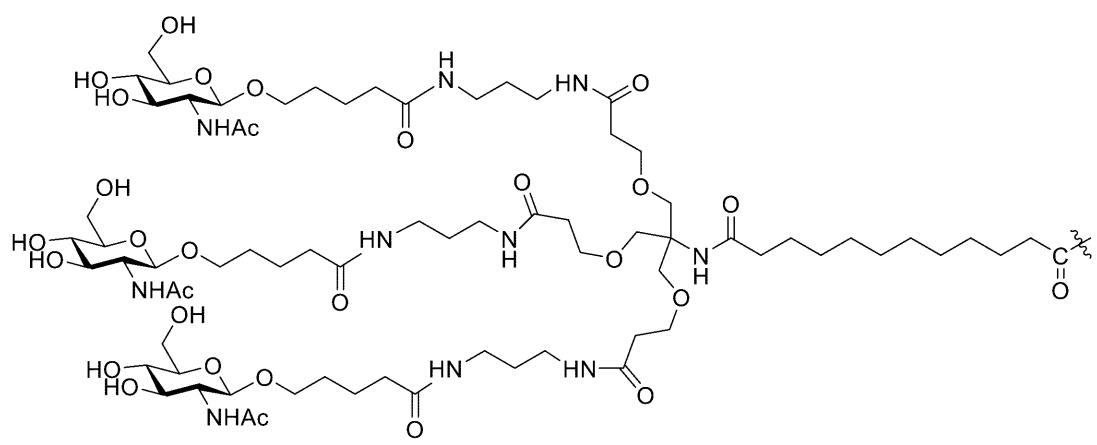


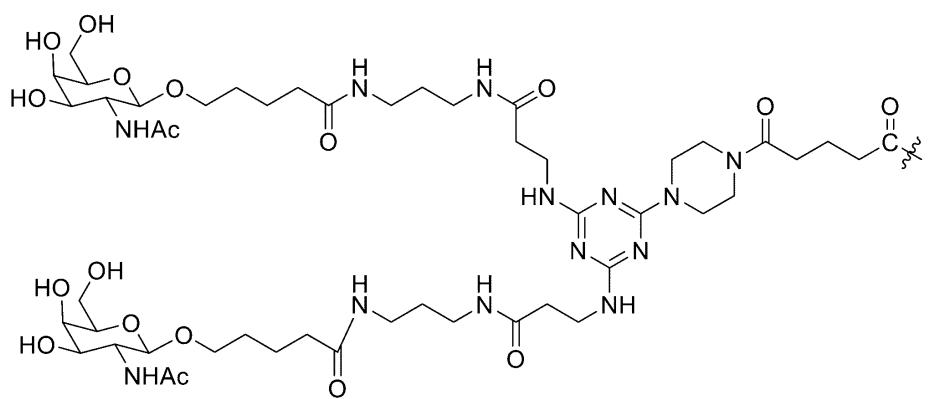
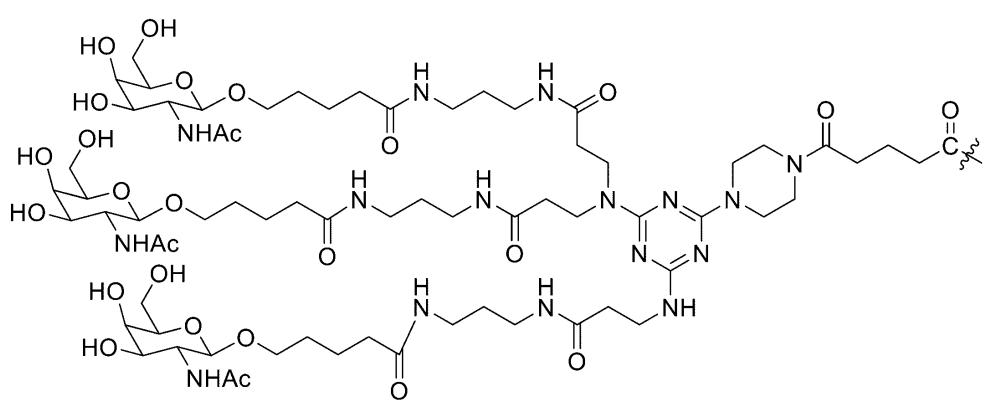
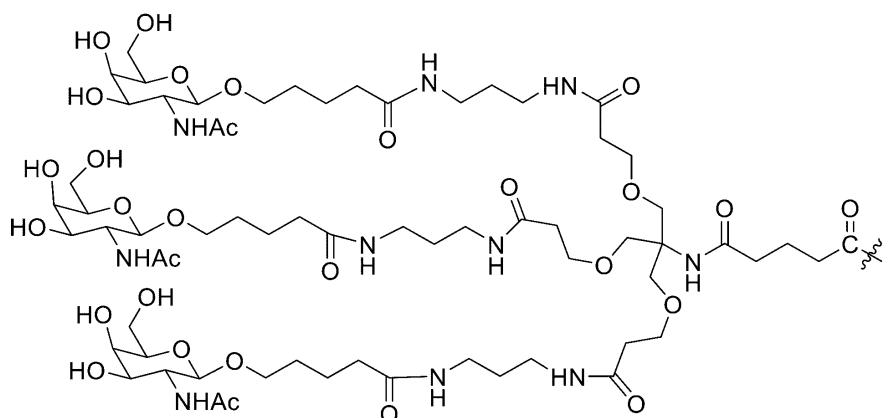
の構造を有する、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 11】

R-C-D が、

【化 3】

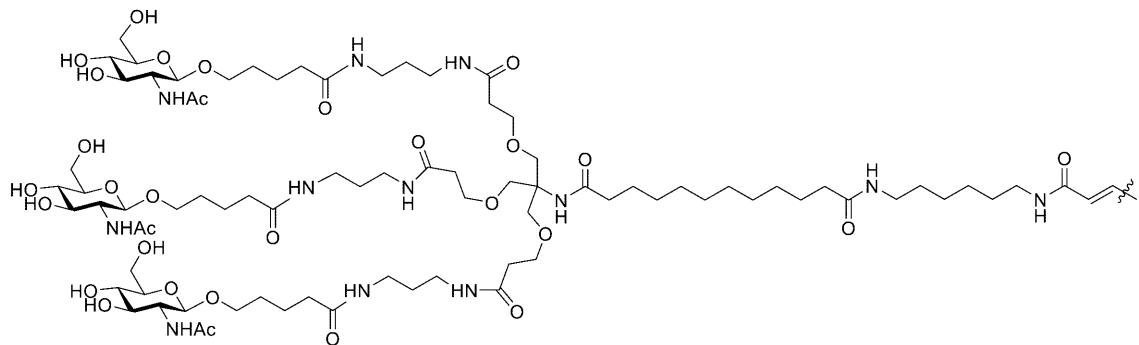




, または

40

50



から選択される、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 1 2】

ヒトにおける脂肪肝、非アルコール性脂肪性肝疾患、非アルコール性脂肪性肝炎、肝線維症を伴う非アルコール性脂肪性肝炎、肝硬変を伴う非アルコール性脂肪性肝炎、または肝硬変および肝細胞癌を伴う非アルコール性脂肪性肝炎を治療する方法における使用のための、請求項 2 に記載の組成物であって、前記方法が、治療を必要とするヒトに前記組成物の治療上有効な量を投与するステップを含む、組成物。

20

30

40

50