

【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、

c) 骨格キラル中心の共通パターン

30

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 1 4 0 1) 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、

40

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
1 0 % 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、1 5 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】

50

前記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。

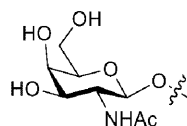
【請求項7】

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_{CD})を含む、請求項2に記載の組成物。

【請求項8】

R_{CD} が、

【化1】



である、請求項7に記載の組成物。

【請求項9】

R_{CD} 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、

10

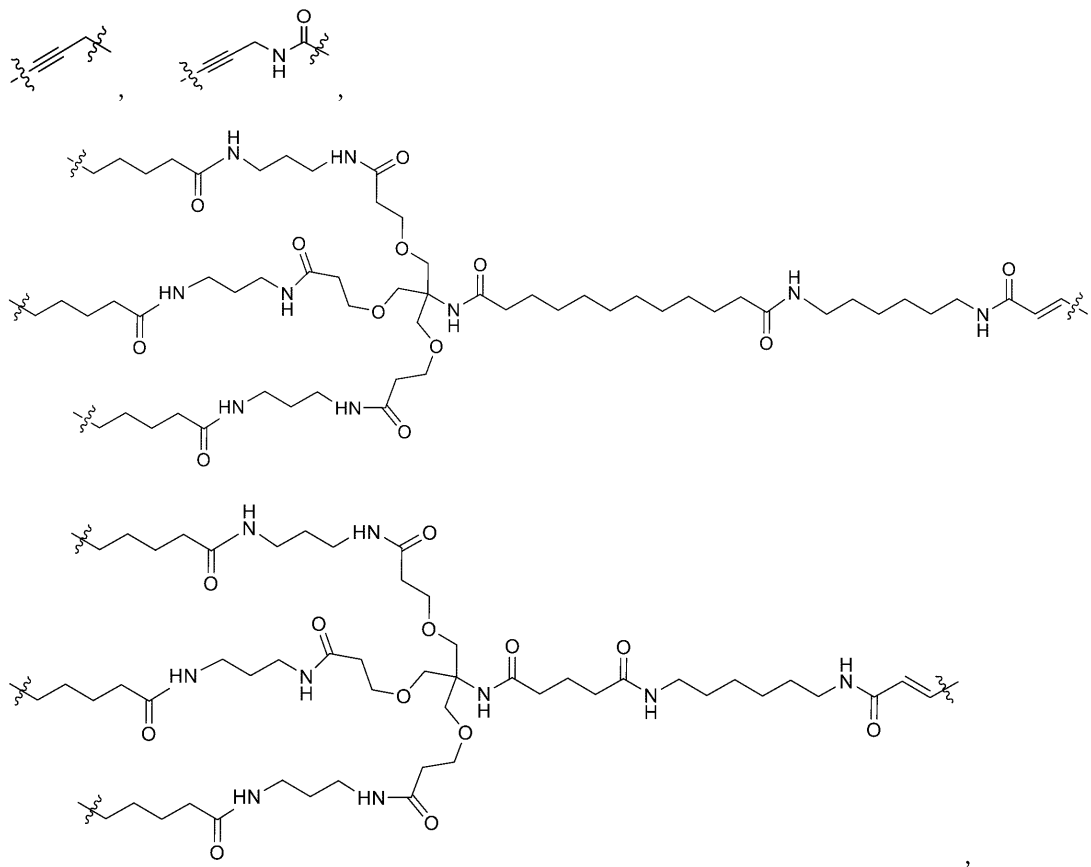
20

30

40

50

【化 2】



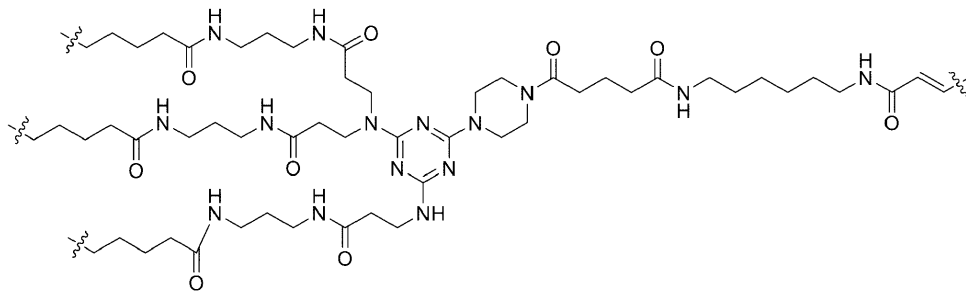
10

20

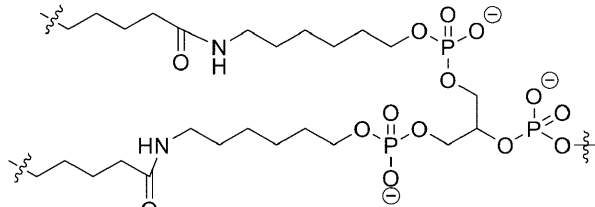
30

40

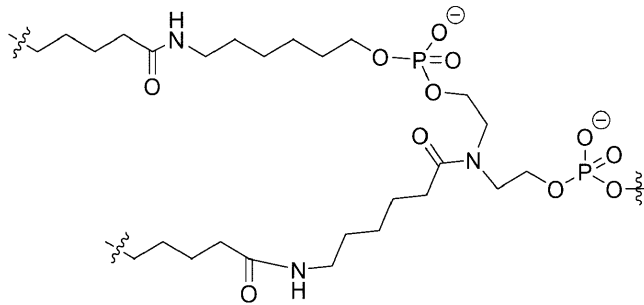
50



10



, または



20

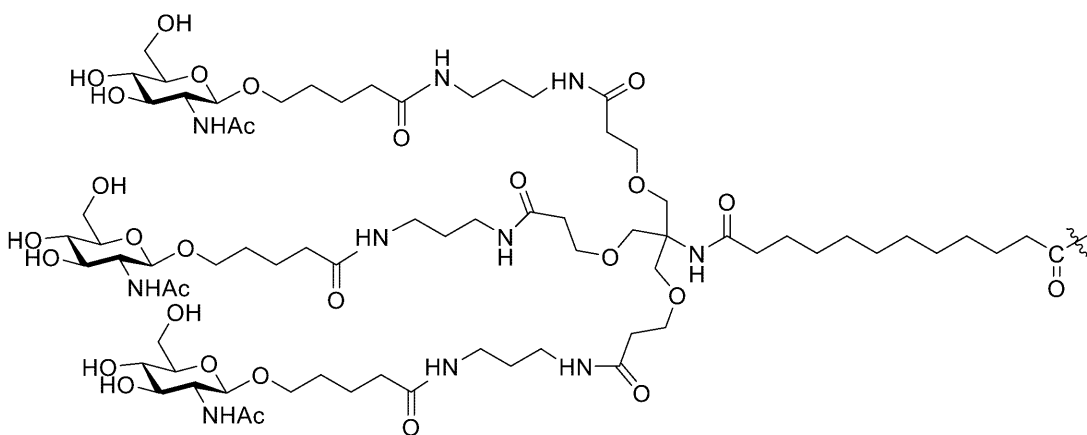
の構造を有する、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 11】

R₁、R₂、R₃ が、

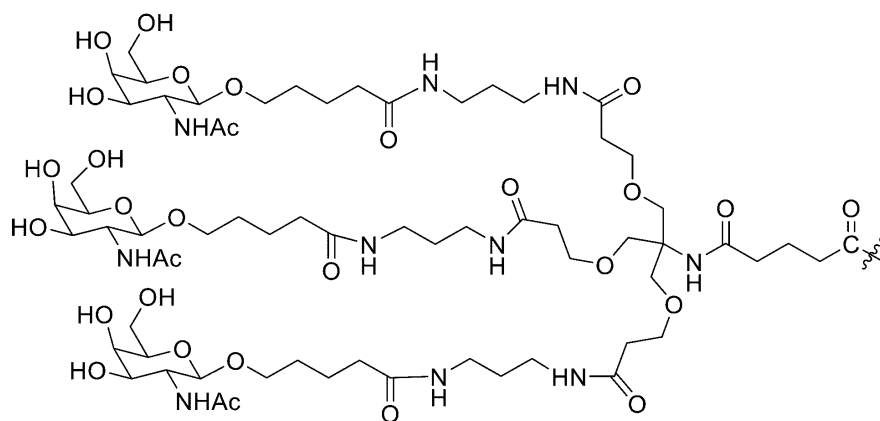
30

【化 3】

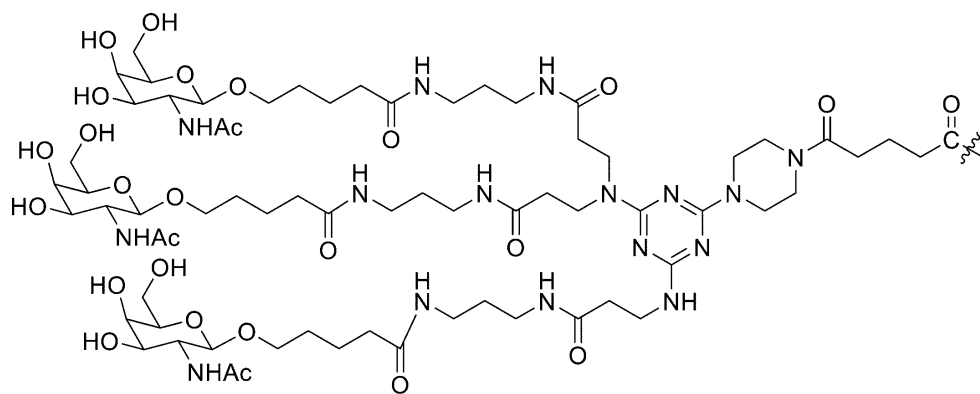


40

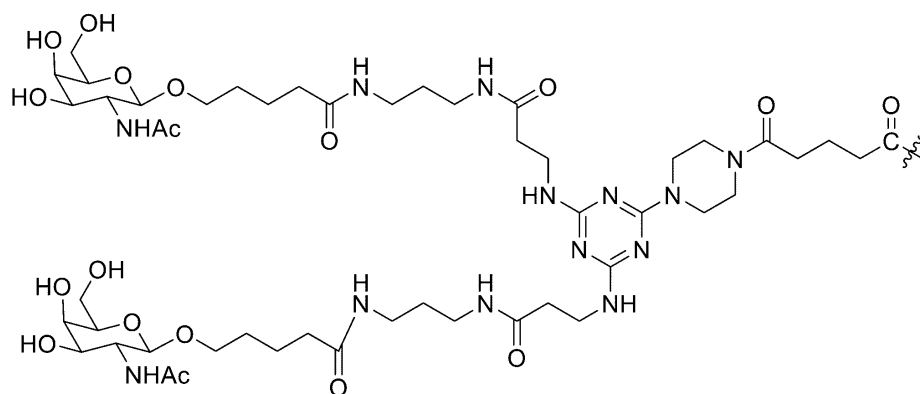
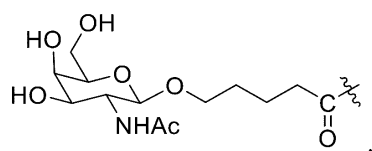
50



10



20

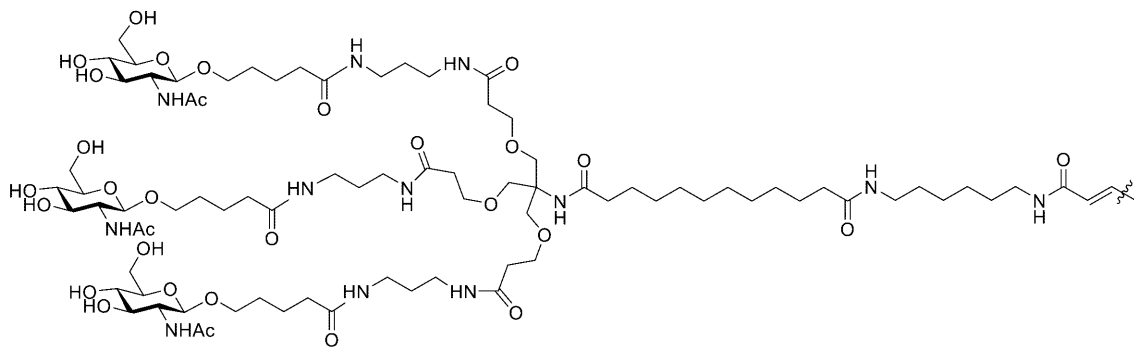


30

, または

40

50



10

から選択される、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 12】

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