

【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 2 年 6 月 18 日 (2020.6.18)

【公表番号】特表 2018-511555 (P2018-511555A)

【公表日】平成 30 年 4 月 26 日 (2018.4.26)

【年通号数】公開・登録公報 2018-016

【出願番号】特願 2017-538667 (P2017-538667)

【国際特許分類】

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

C 1 2 Q 1/68 (2018.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/7115 (2006.01)

A 6 1 K 31/712 (2006.01)

A 6 1 K 31/7125 (2006.01)

A 6 1 P 3/06 (2006.01)

A 6 1 P 1/18 (2006.01)

A 6 1 P 9/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 45/00 Z N A

C 1 2 Q 1/68 Z

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/7115

A 6 1 K 31/712

A 6 1 K 31/7125

A 6 1 P 3/06

A 6 1 P 1/18

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 P 43/00 1 0 5

C 1 2 N 15/00 A

【誤訳訂正書】

【提出日】令和 2 年 5 月 7 日 (2020.5.7)

【誤訳訂正 1】

【訂正対象書類名】特許請求の範囲

【訂正対象項目名】全文

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

医薬組成物であって、A p o C I I I 特異的阻害剤を含む化合物を含み、動物の部分的リポジストロフィーを処置、予防、遅延または改善するための、前記医薬組成物。

【請求項 2】

a) 前記化合物の投与が前記動物におけるトリグリセリドレベルを低下させる；または

b) 肺炎、心血管疾患及び/または代謝疾患または障害の症状またはリスクが改善される；

請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

a) A p o C I I I は配列番号 1、配列番号 2 または配列番号 4 に示される核酸配列を有する；および/または、

b) 前記化合物が A p o C I I I の核酸阻害剤を含む；

請求項 1 または 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

前記化合物が A p o C I I I を標的とする修飾オリゴヌクレオチドを含む、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 5】

a) 前記修飾オリゴヌクレオチドが、配列番号 3 の核酸塩基配列の少なくとも 8 個の連続した核酸塩基を含む核酸塩基配列を有する；または、

b) 前記修飾オリゴヌクレオチドの核酸塩基配列が、配列番号 1、配列番号 2 または配列番号 4 の核酸塩基配列に対して少なくとも 80%、少なくとも 90% または 100% 相補的である；

請求項 4 に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

a) 前記修飾オリゴヌクレオチドは一本鎖修飾オリゴヌクレオチドからなる；

b) 前記修飾オリゴヌクレオチドは 12 ~ 30 個の連結したヌクレオシドからなり、任意に、前記修飾オリゴヌクレオチドは 20 個の連結したヌクレオシドからなる；および/または、

c) 前記修飾オリゴヌクレオチドが、少なくとも 1 つの修飾ヌクレオシド間結合、糖部分または核酸塩基を含む、例えば、前記修飾オリゴヌクレオチドの少なくとも 1 つの修飾ヌクレオシド間結合はホスホロチオエートヌクレオシド間結合であり、少なくとも 1 つの修飾糖は二環糖または 2' - O - メトキシエチルであり、および、少なくとも 1 つの修飾核酸塩基は 5 - メチルシトシンである；

請求項 4 または 5 に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

請求項 4 に記載の医薬組成物であって、前記修飾オリゴヌクレオチドが、

(a) 連結したデオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；

(b) 連結したヌクレオシドからなる 5' ウイングセグメント；

(c) 連結したヌクレオシドからなる 3' ウイングセグメント；

を含み、前記ギャップセグメントは、5' ウイングセグメントと 3' ウイングセグメントに直接隣接してかつその間に位置し、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドは修飾糖を含み、任意に、前記修飾オリゴヌクレオチドが、

(a) 10 個の連結したデオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；

(b) 5 個の連結したヌクレオシドからなる 5' ウイングセグメント；

(c) 5 個の連結したヌクレオシドからなる 3' ウイングセグメント；

を含み、前記ギャップセグメントは、5' ウイングセグメントと 3' ウイングセグメントに直接隣接してかつその間に位置し、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドは 2' - O - メトキシエチル糖を含み、各シトシンは 5' - メチルシトシンであり、および、少なくともヌクレオシド間結合はホスホロチオエート結合である、

前記医薬組成物。

【請求項 8】

医薬組成物であって、修飾オリゴヌクレオチドを含む化合物を含み、

動物における部分的リボジストロフィー、または部分的リボジストロフィーに関連する疾患を治療、予防、遅延、または改善するためのものである、

ここで前記修飾オリゴヌクレオチドは、配列番号 3 の配列を有し、そしてここで前記修

飾オリゴヌクレオチドは、

- (a) 10個の連結したデオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；
- (b) 5個の連結したヌクレオシドからなる5'ウイングセグメント；
- (c) 5個の連結したヌクレオシドからなる3'ウイングセグメント；

を含み、前記ギャップセグメントは、前記5'ウイングセグメントと前記3'ウイングセグメントに直接隣接してかつその間に位置し、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドは2'-O-メトキシエチル糖を含み、各シトシンは5'-メチルシトシンであり、少なくともヌクレオシド間結合はホスホロチオエート結合である、

前記医薬組成物。

【請求項9】

前記化合物は非経口投与され、任意に、前記非経口投与が皮下投与である、請求項1～8のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項10】

前記使用は、第2の薬剤の投与をさらに含み、任意に、

a) 前記第2の薬剤は、レプチン補充療法、ApoCIII低減剤、コレステロール低減剤、非HDL脂質低減剤、LDL低減剤、TG低減剤、コレステロール低減剤、HDL上昇剤、魚油、ナイアシン、フィブラート、スタチン、DCCR（ジアゾキシドの塩）、グルコース低減剤または抗糖尿病薬剤から選択される；および/または

b) 前記第2の薬剤は、前記化合物と同時にまたは連続して投与される；

請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項11】

前記部分的リポジストロフィー患者が遺伝子スクリーニングによって同定される、請求項1～10のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項12】

前記化合物が、薬学的に許容される担体または希釈剤と組み合わせられ、任意に、前記薬学的に許容される希釈剤はリン酸緩衝食塩水（PBS）である、請求項1～11のいずれか1項に記載の医薬組成物。

【請求項13】

前記化合物の前記修飾オリゴヌクレオチドがナトリウム塩である、請求項12に記載の医薬組成物。

【請求項14】

前記化合物は共役されている、請求項1～13のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【誤訳訂正2】

【訂正対象書類名】明細書

【訂正対象項目名】0036

【訂正方法】変更

【訂正の内容】

【0036】

「動物」とは、ヒト、あるいは、マウス、ラット、ウサギ、イヌ、ネコ、ブタ、及び非ヒト霊長類（サル及びチンパンジーを含むが、これらに限定されない）を含むが、これらに限定されない非ヒト動物、を指す。