

【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6年1月25日(2024.1.25)

【公開番号】特開2023-123491(P2023-123491A)

【公開日】令和5年9月5日(2023.9.5)

【年通号数】公開公報(特許)2023-167

【出願番号】特願2023-92396(P2023-92396)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

【手続補正書】

【提出日】令和6年1月17日(2024.1.17)

【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】

20

【特許請求の範囲】

【請求項1】

ヒトジストロフィンプレmRNAのエクソン5-1に結合してエクソンスキッピングを誘導することができるモルホリノオリゴヌクレオチドであって、

前記モルホリノオリゴヌクレオチドが、配列番号1(Ac0)、配列番号2(Ac5)、配列番号3(Ac26)、配列番号4(Ac30)及び配列番号5(Ac48)からなる群から選択される配列の少なくとも27ヌクレオチドを含み、かつ、

前記モルホリノオリゴヌクレオチドの長さが27~30ヌクレオチドである、

前記モルホリノオリゴヌクレオチド。

【請求項2】

請求項1に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドおよび担体を含むコンジュゲートであって、担体が、モルホリノオリゴヌクレオチドに結合されている、前記コンジュゲート。

【請求項3】

担体が、ペプチド、ポリマー、ナノ粒子、脂質、リボソーム、細胞透過性ペプチドまたはエクソソームから選択される、請求項2に記載のコンジュゲート。

【請求項4】

請求項1に記載のモルホリノオリゴヌクレオチド、および/または請求項2~3のいずれか1項に記載のコンジュゲート、並びに薬学的に許容される賦形剤を含む、医薬組成物。

30

【請求項5】

対象の筋障害を治療するための薬剤を製造するための、ヒトジストロフィンプレmRNAのエクソン5-1に結合してエクソンスキッピングを誘導することができるモルホリノオリゴヌクレオチドの使用であって、

前記モルホリノオリゴヌクレオチドが、配列番号1(Ac0)、配列番号2(Ac5)、配列番号3(Ac26)、配列番号4(Ac30)及び配列番号5(Ac48)からなる群から選択される配列の少なくとも25個の連続するヌクレオチドを含み、かつ、

前記モルホリノオリゴヌクレオチドの長さが27~30ヌクレオチドである、前記使用。

【請求項6】

筋障害が、デュシェンヌ型筋ジストロフィーまたはベッカー型筋ジストロフィーである、請求項5に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドの使用。

40

50

【請求項 7】

細胞におけるヒトジストロフィンタンパク質発現を増加させるための、ヒトジストロフィンプレmRNAのエクソン51に結合してエクソンスキッピングを誘導することができるモルホリノオリゴヌクレオチドの使用であって、

前記モルホリノオリゴヌクレオチドが、配列番号1 (Ac0)、配列番号2 (Ac5)、配列番号3 (Ac26)、配列番号4 (Ac30) 及び配列番号5 (Ac48) からなる群から選択される配列の少なくとも25個の連続するヌクレオチドを含み、かつ、前記モルホリノオリゴヌクレオチドの長さが27~30ヌクレオチドである、前記使用。

【請求項 8】

モルホリノオリゴヌクレオチドが、配列番号1 (Ac0)、配列番号2 (Ac5)、配列番号3 (Ac26)、配列番号4 (Ac30) 又は配列番号5 (Ac48) からなる、請求項7に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドの使用。

10

【請求項 9】

モルホリノオリゴヌクレオチドが担体に結合又はコンジュゲートされている、請求項5~8のいずれか1項に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドの使用。

【請求項 10】

担体が、モルホリノオリゴヌクレオチドを標的細胞に輸送するように作動可能である、請求項9に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドの使用。

【請求項 11】

担体が、ペプチド、低分子化学物質、ポリマー、ナノ粒子、脂質、リボソーム又はエクソソームから選択される、請求項9又は10に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドの使用。

20

【請求項 12】

ペプチドが、細胞透過性ペプチドである、請求項11に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドの使用。

【請求項 13】

細胞透過性ペプチドが、アルギニンリッチな細胞透過性ペプチドである、請求項12に記載のモルホリノオリゴヌクレオチドの使用。

30

40

50