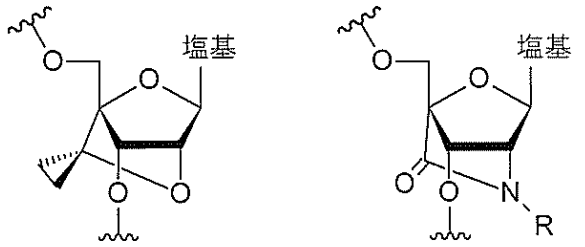
【公報種別】特許法第１７条の２の規定による補正の掲載
【部門区分】第１部門第１区分
【発行日】令和7年6月3日(2025.6.3)

【国際公開番号】WO2022/250050
【出願番号】特願2023-523485(P2023-523485)
【国際特許分類】
C12N 15/113(2010.01)
A61K 31/7088(2006.01)
A61K 48/00(2006.01)
A61P 25/00(2006.01)
A61K 47/54(2017.01)
C07H 21/00(2006.01)
A61P 29/00(2006.01)
A61P 43/00(2006.01)
【FI】
C12N 15/113 ZZNA
A61K 31/7088
A61K 48/00
A61P 25/00
A61K 47/54
C07H 21/00
A61P 29/00
A61P 43/00 105

【手続補正書】
【提出日】令和7年5月26日(2025.5.26)
【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】
第1核酸鎖と第2核酸鎖とを含む二本鎖核酸複合体であって、
前記第1核酸鎖は、標的遺伝子又はその転写産物の少なくとも一部にハイブリダイズすることができ、前記標的遺伝子又はその転写産物に対してアンチセンス効果を有し、
前記第2核酸鎖は、前記第1核酸鎖に相補的な塩基配列を含み、
前記第1核酸鎖は、
(1)少なくとも4個の連続するデオキシリボヌクレオシドを含む中央領域、
(2)前記中央領域の5'末端側に配置された、非天然ヌクレオシドを含む5’ウイング領域、及び
(3)前記中央領域の3'末端側に配置された、非天然ヌクレオシドを含む3’ウイング領域を含み、
前記第1核酸鎖における前記5’ウイング領域及び／又は前記3’ウイング領域は、以下の式（I）又は式（II）：

【化１】



（I） （II）

（式中、Ｒは水素原子又はメチル基を示す。）
で示される少なくとも１個の架橋型の非天然ヌクレオシド及びＬＮＡヌクレオシドを含む、前記二本鎖核酸複合体。

【請求項２】
前記第2核酸鎖が、前記第1核酸鎖の前記中央領域における少なくとも4個の連続するデオキシリボヌクレオシドに相補的な、少なくとも4個の連続するリボヌクレオシドを含む、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項３】
前記第2核酸鎖が、少なくとも2個の連続するデオキシリボヌクレオシドをさらに含む、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項４】
前記第2核酸鎖において、前記第1核酸鎖の5’ウイング領域及び／又は3’ウイング領域に相補的な塩基配列からなる領域に前記式（I）又は式（II）で示される架橋型の非天然ヌクレオシドを含む、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項５】
前記第1核酸鎖及び／又は前記第2核酸鎖が、2'-O-メチル修飾ヌクレオシド、2'-O-メトキシエチル修飾ヌクレオシド、及び2'-O-[2-(N-メチルカルバモイル)エチル]修飾ヌクレオシドからなる群から選択される少なくとも1個のリボース2'位修飾ヌクレオシドを含む、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項６】
前記第1核酸鎖及び／又は前記第2核酸鎖のヌクレオシド間結合の全部又は一部が修飾ヌクレオシド間結合である、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項７】
前記修飾ヌクレオシド間結合がホスホロチオエート結合である、請求項６に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項８】
前記第2核酸鎖が、トコフェロール若しくはコレステロール又はそれらの類縁体と結合している、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項９】
リガンドと結合していない、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項１０】
前記第1核酸鎖と前記第2核酸鎖とが切断性又は非切断性リンカーを介して結合している、請求項１に記載の二本鎖核酸複合体。

【請求項１１】
請求項１に記載の二本鎖核酸複合体を有効成分として含む医薬組成物。

【請求項１２】
被検体の中枢神経系疾患を治療するための、請求項１１に記載の医薬組成物。

【請求項１３】
脳室内投与又は髄腔内投与される、請求項１１に記載の医薬組成物。

【請求項１４】
前記二本鎖核酸複合体が0.1mg～200mg投与される、請求項１３に記載の医薬組成物。
【請求項１５】
静脈内投与又は皮下投与される、請求項１１に記載の医薬組成物。
【請求項１６】
前記二本鎖核酸複合体が0.1mg/kg～100mg/kg投与される、請求項１５に記載の医薬組成物。
【請求項１７】
炎症若しくはグリオーシスの惹起、又はサイトカイン若しくはケモカインの異常上昇が低減されている、請求項１１に記載の医薬組成物。