【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3年7月26日(2021.7.26)

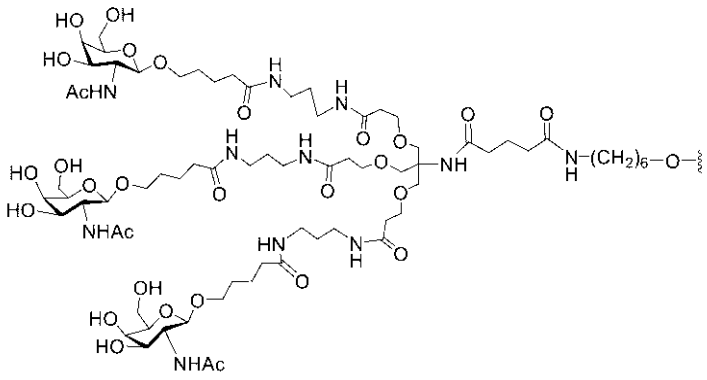
【公開番号】特開2021-74021(P2021-74021A)
【公開日】令和3年5月20日(2021.5.20)
【年通号数】公開・登録公報2021-023
【出願番号】特願2021-23118(P2021-23118)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ　15/113　(2010.01)
Ａ６１Ｐ　3/06　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　43/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/10　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　9/12　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　1/16　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　9/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　9/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　35/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　15/14　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　1/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　19/02　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　7/02　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/7088　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/712　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/713　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/7115　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　31/7125　(2006.01)
Ｃ０７Ｈ　21/04　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　45/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/36　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/26　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/61　(2017.01)
Ａ６１Ｋ　47/54　(2017.01)
Ａ６１Ｋ　47/22　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　47/34　(2017.01)
Ａ６１Ｋ　47/60　(2017.01)
Ａ６１Ｋ　47/42　(2017.01)
Ａ６１Ｋ　47/62　(2017.01)
Ｃ１２Ｎ　15/12　(2006.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ　15/113　ＺＮＡＺ
Ａ６１Ｐ　3/06
Ａ６１Ｐ　3/04
Ａ６１Ｐ　43/00　１２１
Ａ６１Ｐ　3/10
Ａ６１Ｐ　3/00
Ａ６１Ｐ　9/12
Ａ６１Ｐ　1/16

Ａ６１Ｐ　　9/04
Ａ６１Ｐ　　9/00
Ａ６１Ｐ　35/00
Ａ６１Ｐ　15/14
Ａ６１Ｐ　　1/04
Ａ６１Ｐ　19/02
Ａ６１Ｐ　　7/02
Ａ６１Ｋ　31/7088
Ａ６１Ｋ　31/712
Ａ６１Ｋ　31/713
Ａ６１Ｋ　31/7115
Ａ６１Ｋ　31/7125
Ｃ０７Ｈ　21/04　　ＣＳＰＺ
Ａ６１Ｋ　45/00
Ａ６１Ｋ　47/36
Ａ６１Ｋ　47/26
Ａ６１Ｋ　47/61
Ａ６１Ｋ　47/54
Ａ６１Ｋ　47/22
Ａ６１Ｋ　47/34
Ａ６１Ｋ　47/60
Ａ６１Ｋ　47/42
Ａ６１Ｋ　47/62
Ｃ１２Ｎ　15/12

【手続補正書】
【提出日】令和3年5月12日(2021.5.12)
【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】
修飾オリゴヌクレオチドおよびコンジュゲート基を含む化合物であって、修飾オリゴヌクレオチドが、８～８０個の連結したヌクレオシドからなり、かつ配列番号１に少なくとも８５％、９０％、９５％、または１００％相補的な核酸塩基配列を有し、好ましくは、修飾オリゴヌクレオチドの核酸塩基配列が、配列番号１の核酸塩基３２９１～３３１０、３２９０～３３０９、３２８７～３３０６、または３２９２～３３１１内で相補的であり、かつ前記修飾オリゴヌクレオチドが、配列番号１に少なくとも８５％、９０％、９５％、または１００％相補的である、化合物。
【請求項２】
修飾オリゴヌクレオチドが、１０～３０個の連結したヌクレオシドからなり、かつ配列番号５４、５５、５６、または５７の核酸塩基配列のうちのいずれかの少なくとも８個の連続した核酸塩基を含む核酸塩基配列を有する、請求項１に記載の化合物であって、好ましくは、修飾オリゴヌクレオチドが、
（ａ）配列番号５４、５５、５６、または５７に記載の配列を含む核酸塩基配列；または、
（ｂ）配列番号５４、５５、５６、または５７に記載の配列からなる核酸塩基配列
を有する、請求項１に記載の化合物。

【請求項３】
修飾オリゴヌクレオチドおよびコンジュゲート基を含む化合物であって、修飾オリゴヌクレオチドが、８～８０個の連結したヌクレオシドからなり、かつ配列番号３に少なくとも８５％、９０％、９５％、または１００％相補的な核酸塩基配列を有し、好ましくは、修飾オリゴヌクレオチドの核酸塩基配列が、配列番号３の核酸塩基１９２～２１１、１９１～２１０、１９３～２１２、３６９～３８８、３７０～３８９、７８８～８０７、７９０～８０８、または２９５４～２９７３内で相補的であり、かつ前記修飾オリゴヌクレオチドが、配列番号３に少なくとも８５％、９０％、９５％、または１００％相補的である、化合物。
【請求項４】
修飾オリゴヌクレオチドが、１０～３０個の連結したヌクレオシドからなり、かつ配列番号５８、５９、６０、６１、６２、６３、６４、または６５の核酸塩基配列のうちのいずれかの少なくとも８個の連続した核酸塩基を含む核酸塩基配列を有する、請求項３に記載の化合物であって、好ましくは、修飾オリゴヌクレオチドが、
（ａ）配列番号５８、５９、６０、６１、６２、６３、６４、または６５に記載の配列を含む核酸塩基配列；または
（ｂ）配列番号５８、５９、６０、６１、６２、６３、６４、または６５に記載の配列からなる核酸塩基配列
を有する、請求項３に記載の化合物。
【請求項５】
修飾オリゴヌクレオチドおよびコンジュゲート基を含む化合物であって、修飾オリゴヌクレオチドが、８～８０個の連結したヌクレオシドからなり、かつ配列番号７に少なくとも８５％、９０％、９５％、または１００％相補的な核酸塩基配列を有し、好ましくは、修飾オリゴヌクレオチドの核酸塩基配列が、配列番号７の標的開始部位５７８２５、５９９５６、６５９４０、６３５７７、７６２２４、７６２２９、６５９３８、７６２２５、６５９３８、６５９３９、９５５１３、または７６２２９に相補的であり、かつ前記修飾オリゴヌクレオチドが、配列番号７に少なくとも８５％、９０％、９５％、または１００％相補的である、化合物。
【請求項６】
修飾オリゴヌクレオチドが、１０～３０個の連結したヌクレオシドからなり、かつ配列番号６６、６７、６８、６９、７０、７１、７２、７３、７４、７５、７６、または７７の核酸塩基配列のうちのいずれかの少なくとも８個の連続した核酸塩基を含む核酸塩基配列を有する、請求項５に記載の化合物であって、好ましくは、修飾オリゴヌクレオチドが、（ａ）配列番号６６、６７、６８、６９、７０、７１、７２、７３、７４、７５、７６、または７７に記載の配列を含む核酸塩基配列；または
（ｂ）配列番号６６、６７、６８、６９、７０、７１、７２、７３、７４、７５、７６、または７７に記載の配列からなる核酸塩基配列
を有する、請求項５に記載の化合物。
【請求項７】
修飾オリゴヌクレオチドが少なくとも１個の修飾糖を含む、先行する請求項のいずれかに記載の化合物であって、
（ａ）修飾糖が、４’－（CH_2）－Ｏ－２’（ＬＮＡ）、４’－（CH_2）$_2$－Ｏ－２’（ＥＮＡ）、および４’－ＣＨ（CH_3）－Ｏ－２’（ｃＥｔ）からなる群から選択される二環糖である；または
（ｂ）修飾糖が２’－Ｏ－メトキシエチルである、
化合物。
【請求項８】
修飾オリゴヌクレオチドが少なくとも１個の修飾核酸塩基を含む、先行する請求項のいずれかに記載の化合物であって、好ましくは、修飾核酸塩基が５－メチルシトシンである、化合物。

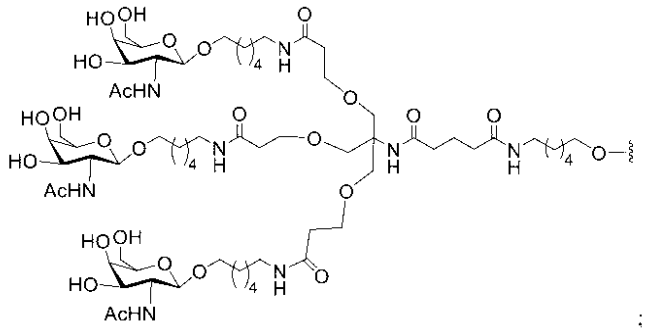
【請求項９】
（ａ）化合物が一本鎖である；または
（ｂ）化合物が二本鎖である、
先行する請求項のいずれかに記載の化合物。
【請求項１０】
修飾オリゴヌクレオチドが少なくとも１個の修飾ヌクレオシド間結合を含む、先行する請求項のいずれかに記載の化合物。
【請求項１１】
（ａ）修飾ヌクレオシド間結合がホスホロチオエートヌクレオシド間結合である；および／または
（ｂ）修飾オリゴヌクレオチドが少なくとも１個のホスホジエステルヌクレオシド間結合を含む、請求項１０に記載の化合物。
【請求項１２】
コンジュゲート基が、
（ａ）修飾オリゴヌクレオチドの５’末端で；および／または
（ｂ）修飾オリゴヌクレオチドの３’末端で、
修飾オリゴヌクレオチドに連結される、先行する請求項のいずれかに記載の化合物。
【請求項１３】
コンジュゲート基が、
（ａ）正確に１個のリガンドを；
（ｂ）正確に２個のリガンドを；
（ｃ）３個以上のリガンドを；または
（ｄ）正確に３個のリガンドを
含む、先行する請求項のいずれかに記載の化合物。
【請求項１４】
前記コンジュゲート基が、
【化１】
a）



;

【化２】

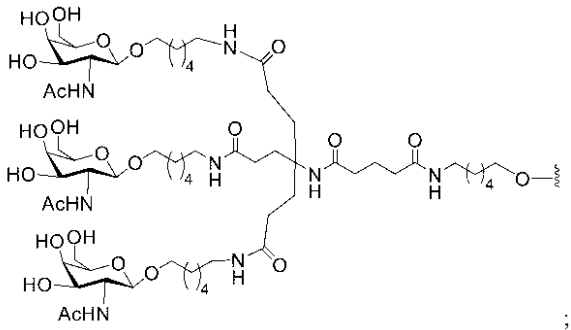
b)



;

【化３】

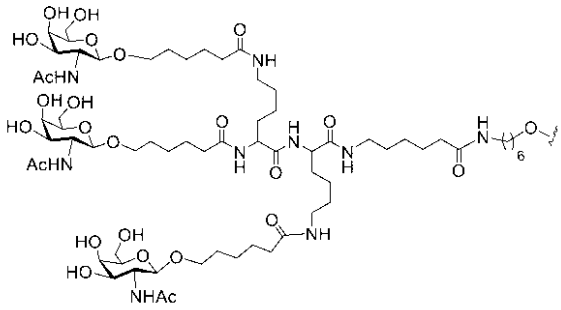
c)



;

【化４】

d)

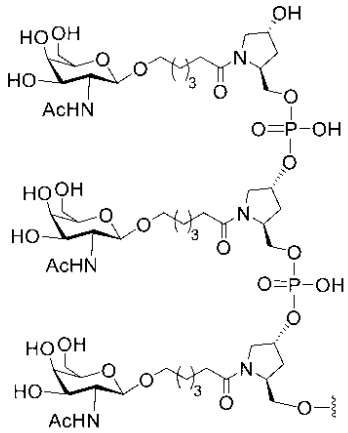


;

または

【化５】

e）



を含む、先行する請求項のいずれかに記載の化合物。

【請求項１５】

いずれかの先行する請求項に記載の化合物またはその塩と、薬剤的に許容される担体または希釈剤のうちの少なくとも１つと、を含む、組成物。

【請求項１６】

いずれかの先行する請求項に記載の化合物を含む、プロドラッグ。

【請求項１７】

いずれかの先行する請求項に記載の化合物または組成物を動物に投与することを含む方法であって、好ましくは動物がヒトである、方法。

【請求項１８】

化合物または組成物および第２の薬剤を共投与することを含む、請求項１７に記載の方法であって、好ましくは、化合物または組成物および前記第２の薬剤が同時に投与される、方法。