

【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4年2月8日(2022.2.8)

【公開番号】特開2021-72800(P2021-72800A)

【公開日】令和3年5月13日(2021.5.13)

【年通号数】公開・登録公報2021-022

【出願番号】特願2021-2759(P2021-2759)

【国際特許分類】

C 12 N 15/113(2010.01)
 A 61 K 48/00(2006.01)
 A 61 P 3/10(2006.01)
 A 61 P 43/00(2006.01)
 A 61 K 31/7088(2006.01)
 A 61 K 31/712(2006.01)
 A 61 K 31/7125(2006.01)
 C 12 N 15/55(2006.01)

10

【F I】

C 12 N 15/113 Z
 A 61 K 48/00 Z N A
 A 61 P 3/10
 A 61 P 43/00 1 1 1
 A 61 K 31/7088
 A 61 K 31/712
 A 61 K 31/7125
 C 12 N 15/55

20

【手続補正書】

【提出日】令和4年1月31日(2022.1.31)

【手続補正1】

30

【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】

c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のcDNAに相補的なヌクレオチド配列からなる塩基数15～30のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から82番目乃至92番目のいずれかの部位を含む領域に相補的な配列からなる前記オリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

40

【請求項2】

塩基数15～21のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から86番目乃至92番目のいずれかの部位を含む領域に相補的な配列からなる、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項3】

塩基数15～21のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から92番目の部位を含む領域に相補的な配列からなる、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項4】

50

塩基数15～18のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から92番目の部位を含む領域に相補的な配列からなる、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項5】

塩基数18のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から92番目の部位を含む領域に相補的な配列からなる、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項6】

塩基数17のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から92番目の部位を含む領域に相補的な配列からなる、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

10

【請求項7】

塩基数16のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から92番目の部位を含む領域に相補的な配列からなる、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項8】

塩基数15のオリゴヌクレオチドであって、c.648G T変異を有するG6PC遺伝子のエクソン5の5'末端から92番目の部位を含む領域に相補的な配列からなる、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

20

【請求項9】

配列番号1～32、40～42、44～48のいずれかの配列（但し、配列中のtはuであってもよく、uはtであってもよい）中の連続する少なくとも15個のヌクレオチドの配列を含む、請求項1に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項10】

さらに、生体内で切断されうるオリゴヌクレオチドが5'末端及び/又は3'末端に付加された請求項1～9のいずれかに記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項11】

オリゴヌクレオチドを構成する糖及び/又はリン酸ジエステル結合の少なくとも1個が修飾されている、請求項1～10のいずれか1項に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

30

【請求項12】

オリゴヌクレオチドを構成する糖がD-リボフラノースであり、糖の修飾がD-リボフラノースの2'位の水酸基の修飾である、請求項1～10のいずれか1項に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項13】

オリゴヌクレオチドを構成する糖がD-リボフラノースであり、糖の修飾がD-リボフラノースの2'-O-アルキル化及び/又は2'-,4'-架橋化である、請求項1～10のいずれか1項に記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

40

【請求項14】

オリゴヌクレオチドを構成する糖がD-リボフラノースであり、糖の修飾がD-リボフラノースの2'-O-アルキル化及び/又は2'-O,4'-C-アルキレン化である、請求項1～10のいずれかに記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項15】

リン酸ジエステル結合の修飾がホスホロチオエートである、請求項1～14のいずれかに記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項16】

5'末端及び/又は3'末端にGalNAcユニットが結合した請求項1～15のいずれかに記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

50

【請求項 17】

5'末端にGalNAcユニットが結合した請求項1～15のいずれかに記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物。

【請求項 18】

請求項1～17のいずれかに記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物を含む、医薬。

【請求項 19】

請求項1～17のいずれかに記載のオリゴヌクレオチド、その薬理上許容される塩又は溶媒和物を含む、糖原病Ia型治療薬。

10

20

30

40

50