

【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 5 年 12 月 25 日(2023.12.25)

【公開番号】特開 2023-130519(P2023-130519A)

【公開日】令和 5 年 9 月 20 日(2023.9.20)

【年通号数】公開公報(特許)2023-177

【出願番号】特願 2023-118556(P2023-118556)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

10

A 6 1 P 21/00(2006.01)

A 6 1 P 21/04(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 9/00(2006.01)

A 6 1 K 31/713(2006.01)

A 6 1 P 25/00(2006.01)

A 6 1 K 47/68(2017.01)

A 6 1 K 47/62(2017.01)

A 6 1 K 47/60(2017.01)

20

A 6 1 K 48/00(2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

A 6 1 P 21/00

A 6 1 P 21/04

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 9/00

A 6 1 K 31/713

A 6 1 P 25/00

30

A 6 1 K 47/68

A 6 1 K 47/62

A 6 1 K 47/60

A 6 1 K 48/00

【手続補正書】

【提出日】令和 5 年 12 月 14 日(2023.12.14)

【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

40

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

必要とする被験体において欠損 D M D m R N A を特徴とする疾患または疾病を処置するための医薬組成物であって、ポリ核酸抱合体を含み、

前記ポリ核酸抱合体が、抗ヒトトランスフェリン受容体抗体と、少なくとも 1 つのポリ核酸分子とを含み、

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、D M D 遺伝子の m R N A 前駆体転写産物のエクソン 4 4 もしくはエクソン 4 5 内、または、エクソン 4 4 もしくはエクソン 4 5 のエクソ

50

ン - イントロン接合部における標的領域にハイブリダイズし、前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、少なくとも 1 つのホスホロジアミデートモルホリノオリゴマー ( P M O ) 修飾された非天然ヌクレオチドを含み、前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、ヒト筋細胞において、前記 m R N A 前駆体転写産物からのエクソン 4 4 もしくはエクソン 4 5 のスプライシングアウトを誘発して、機能性ジストロフィンタンパク質をコードする m R N A 転写産物を生成する、  
医薬組成物。

【請求項 2】

前記機能性ジストロフィンタンパク質が、前記ジストロフィンタンパク質の切断された形態である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

10

【請求項 3】

前記標的領域が、エクソン 4 4 もしくはエクソン 4 5 の前記エクソン - イントロン接合部にあるか、または、前記標的領域が、エクソン 4 4 もしくはエクソン 4 5 の前記エクソン - イントロン接合部の上流または下流のイントロン領域である、請求項 1 または 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 4】

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、D M D 遺伝子の前記 m R N A 前駆体転写産物からのエクソン 4 4 のスプライシングアウトを誘発する、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】

20

前記ポリ核酸抱合体が、

$$A - (X^1 - B)_n$$

式 ( V )

を含み、式中、

A は前記抗ヒトトランスフェリン受容体抗体を含み；

B は前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子のうちの 1 つからなり；

$X^1$  は単結合あるいは第 1 の非高分子リンカーからなり；および

n は 1 ~ 12 から選択された平均値である、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 6】

30

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が一本鎖オリゴヌクレオチドである、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 7】

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、S E Q I D N O : 1 0 5 7 ~ 1 0 6 7、1 0 7 9 ~ 1 0 8 2 および 1 0 8 4 ~ 1 0 8 9 から選択される配列と少なくとも 80 % の配列同一性を含む、請求項 6 に記載の医薬組成物。

【請求項 8】

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、S E Q I D N O : 1 0 5 7 ~ 1 0 6 7、1 0 7 9 ~ 1 0 8 2 および 1 0 8 4 ~ 1 0 8 9 から選択される塩基配列の少なくとも 25 個の連続塩基を含む、請求項 6 に記載の医薬組成物。

40

【請求項 9】

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、S E Q I D N O : 1 0 5 7 ~ 1 0 6 7、1 0 7 9 ~ 1 0 8 2 および 1 0 8 4 ~ 1 0 8 9 から選択される核酸配列を含む、請求項 6 に記載の医薬組成物。

【請求項 10】

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、S E Q I D N O : 1 0 5 7 ~ 1 0 6 7、1 0 7 9 ~ 1 0 8 2 および 1 0 8 4 ~ 1 0 8 9 から選択される核酸配列からなる、請求項 6 に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

前記少なくとも 1 つのポリ核酸分子が、少なくとも 1 つの修飾されたヌクレオチド間結合

50

、少なくとも１つの反転脱塩基部分、少なくとも１つの５' - ビニルホスホネート修飾された非天然のヌクレオチド、またはこれらの組み合わせを含む、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】

前記疾患または疾病がデュシェンヌ型筋ジストロフィーである、請求項１～１１のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項１３】

前記被験体がヒトである、請求項１～１２のいずれか一項に記載の医薬組成物。

10

20

30

40

50