

【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8月9日(2024.8.9)

【公開番号】特開2024-26778(P2024-26778A)

【公開日】令和6年2月28日(2024.2.28)

【年通号数】公開公報(特許)2024-037

【出願番号】特願2024-4430(P2024-4430)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

10

C 1 2 N 5/071(2010.01)

A 6 1 K 47/54(2017.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 P 1/16(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 P 3/06(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 31/14(2006.01)

A 6 1 P 29/00(2006.01)

20

A 6 1 K 31/7125(2006.01)

A 6 1 K 31/713(2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

C 1 2 N 5/071

A 6 1 K 47/54

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 1/16

A 6 1 P 43/00 1 1 1

30

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 3/06

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 31/14

A 6 1 P 29/00

A 6 1 K 31/7125

A 6 1 K 31/713

【手続補正書】

【提出日】令和6年7月31日(2024.7.31)

40

【手続補正1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0132

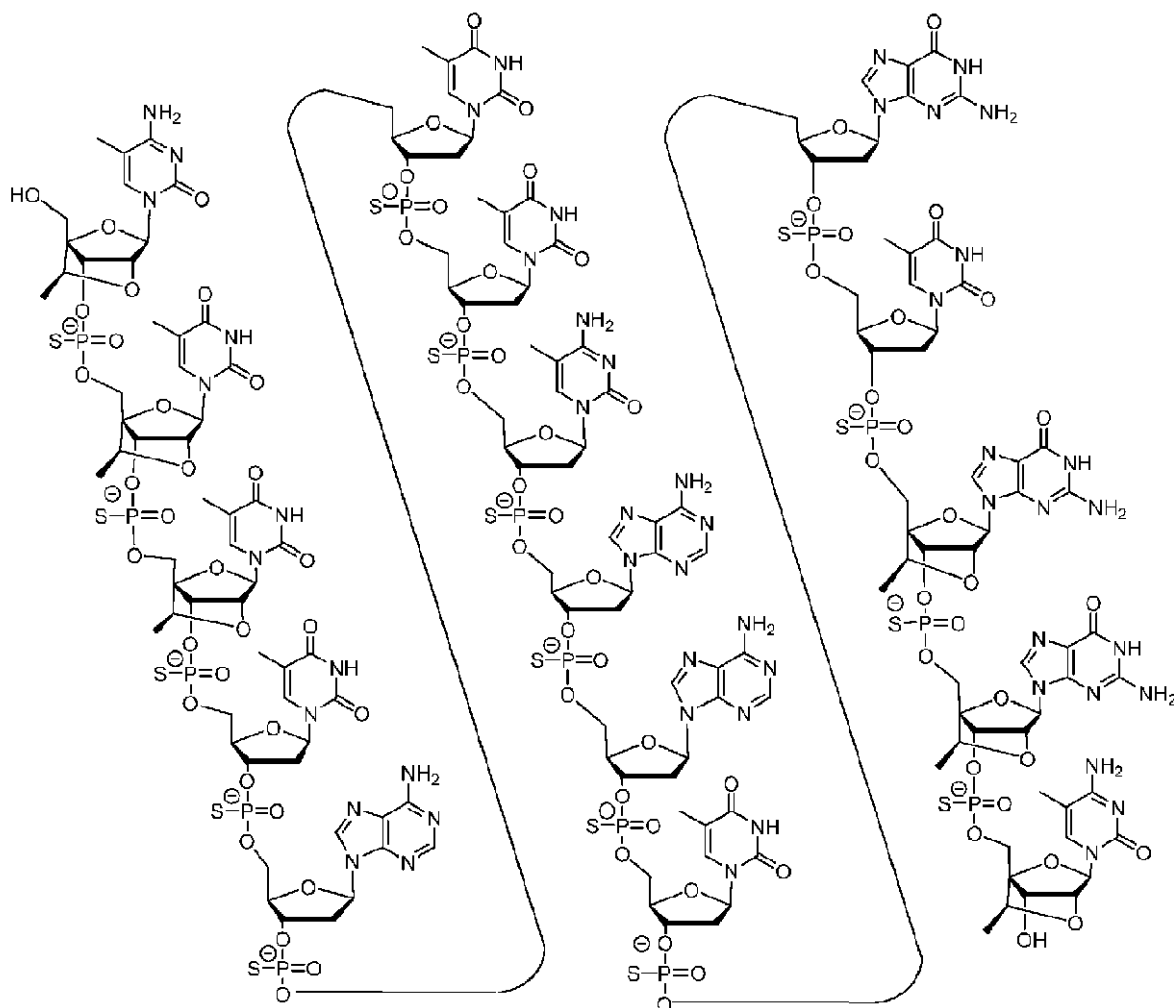
【補正方法】変更

【補正の内容】

【0132】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造(配列番号: 2173)を有する I O N 916333又はその塩を含むか又はそれからなる。

【化 2】



10

20

【手続補正 2】

30

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0133

【補正方法】変更

【補正の内容】

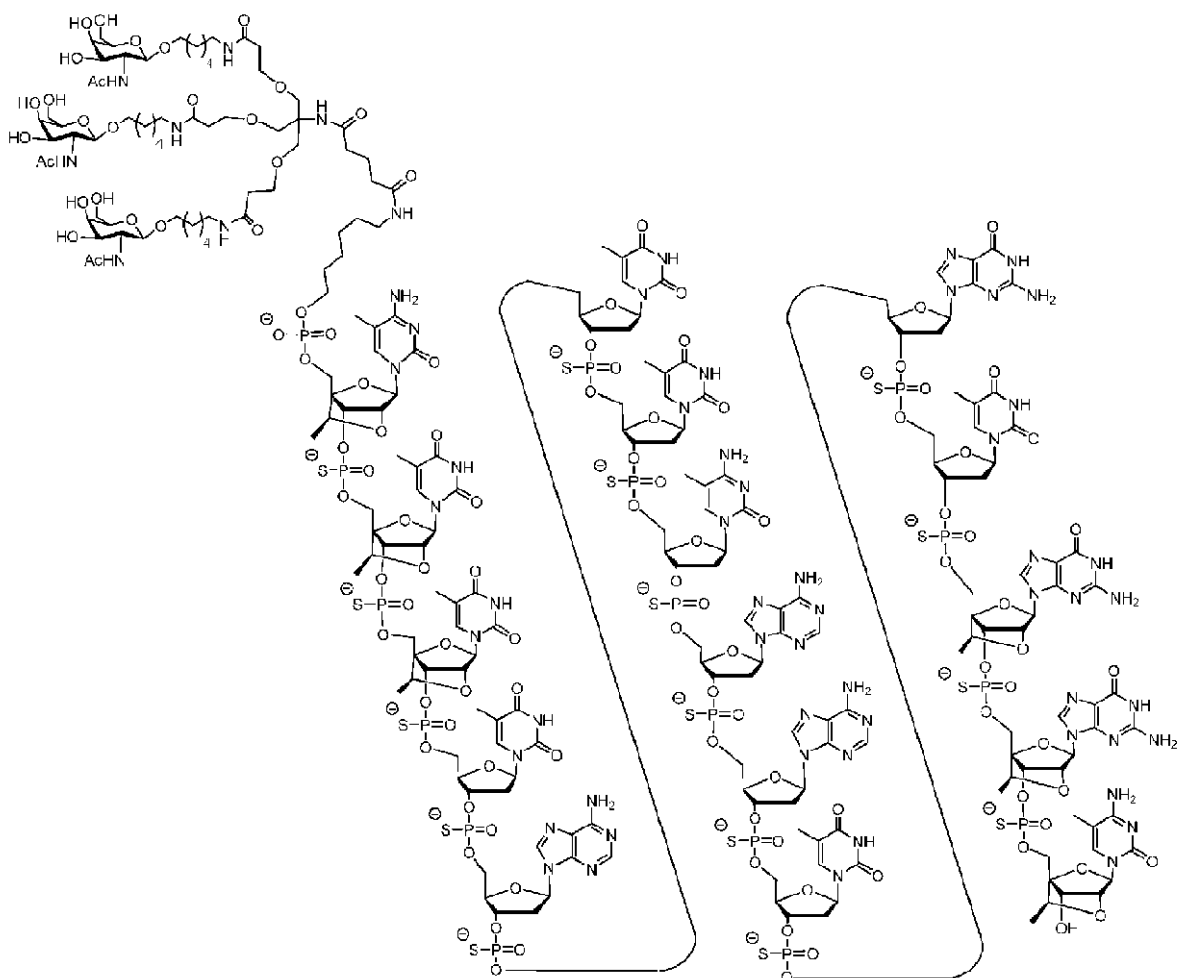
【0133】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2174）を有するION 975616又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 3】



10

20

【手続補正 3】

30

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0134

【補正方法】変更

【補正の内容】

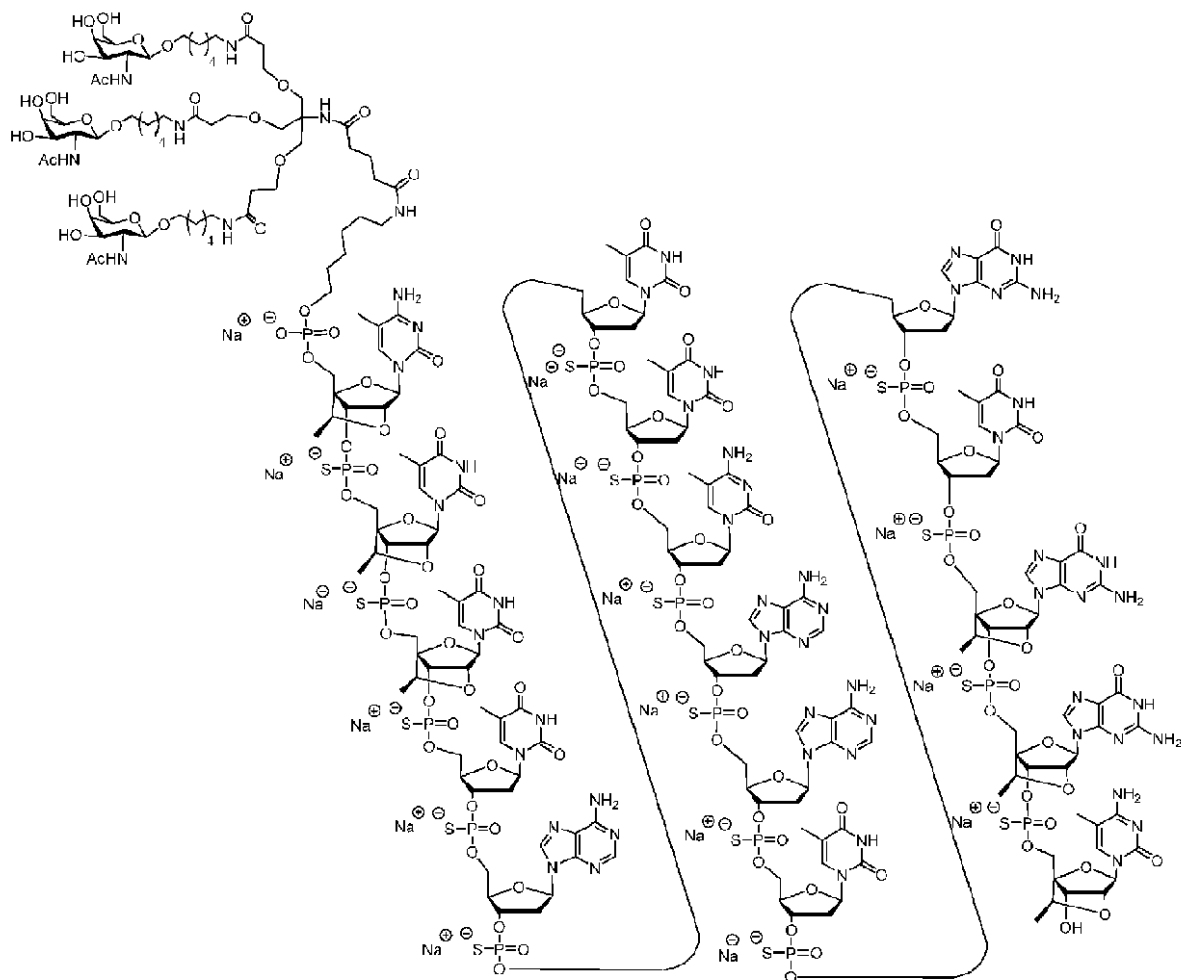
【0134】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2174）を有する975616のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 4】



10

20

【手続補正 4】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0 1 3 5

【補正方法】変更

【補正の内容】

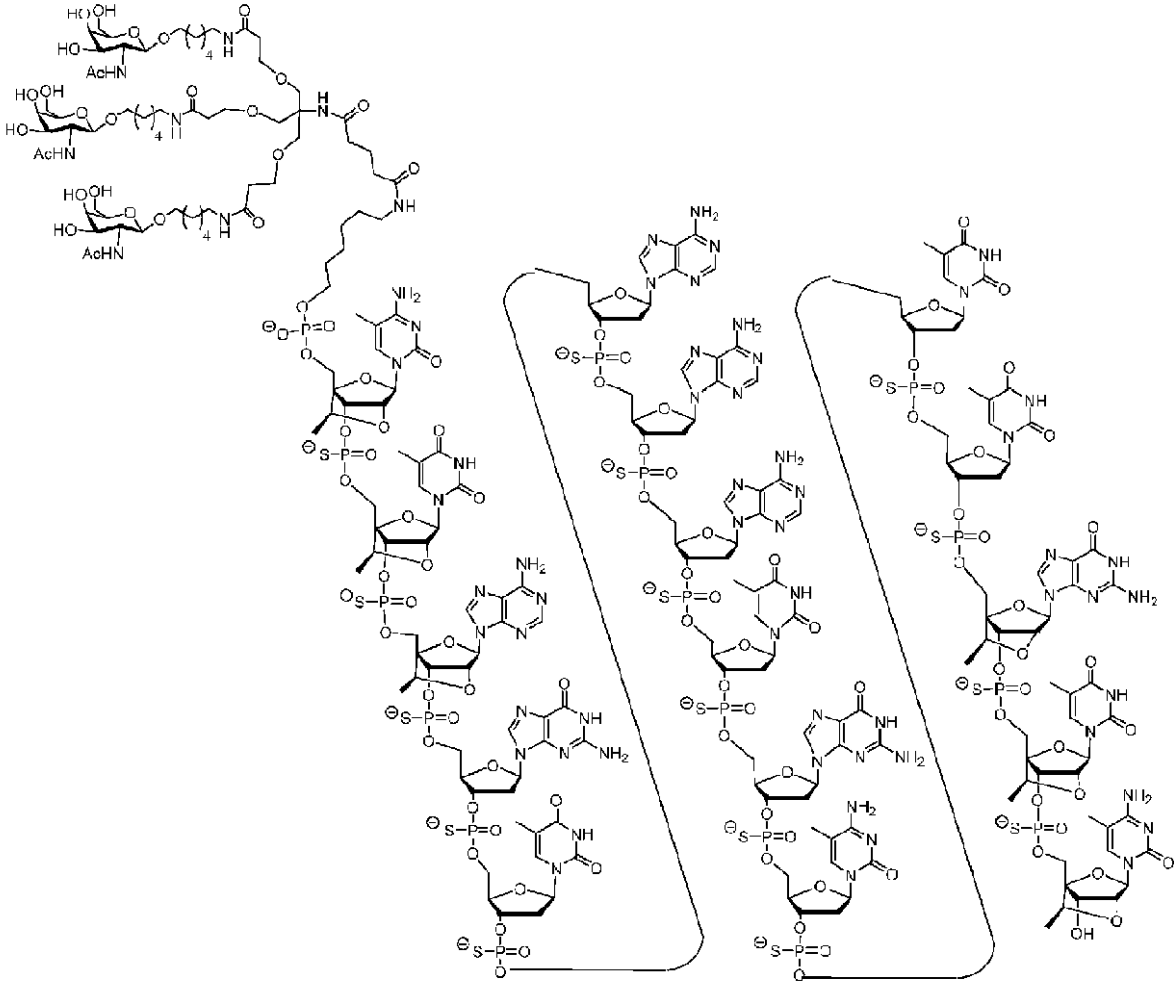
【0 1 3 5】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 6）を有する I O N 9 7 5 6 1 3 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 5】



10

20

【手続補正 5】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0 1 3 6

【補正方法】変更

【補正の内容】

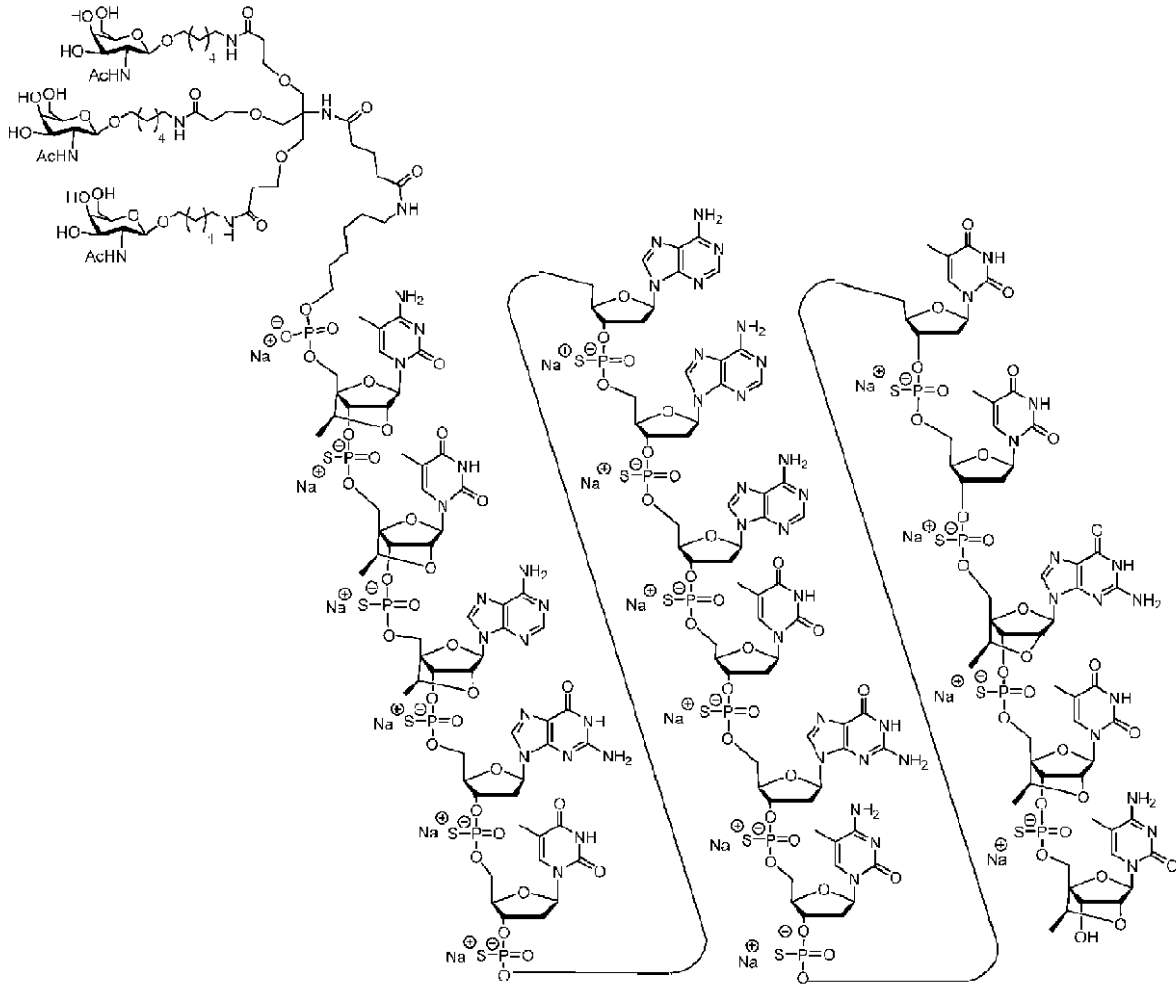
【0 1 3 6】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 6）を有する 9 7 5 6 1 3 のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 6】



10

20

【手続補正 6】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0 1 3 7

【補正方法】変更

【補正の内容】

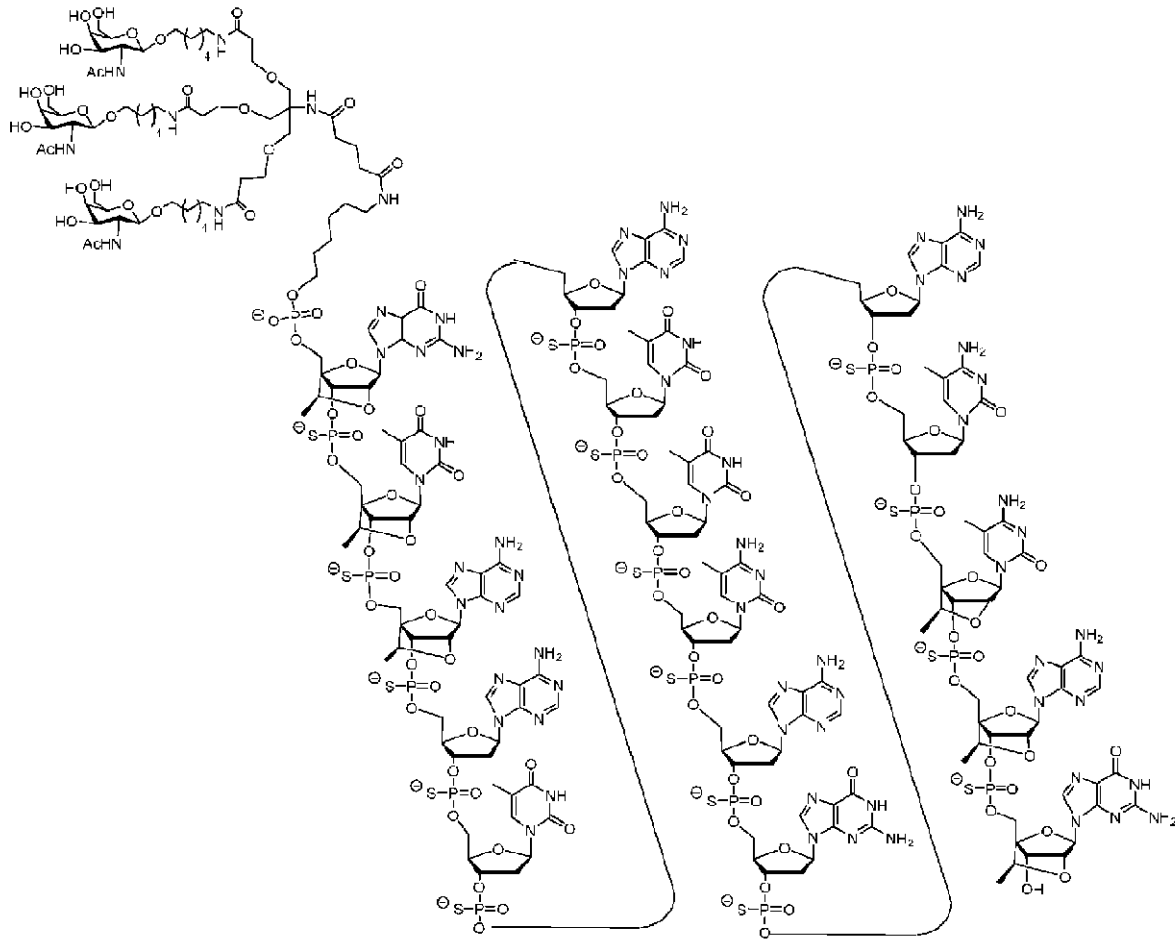
【0 1 3 7】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 8）を有する I O N 9 7 5 6 1 2 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 7】



10

20

【手続補正 7】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0138

【補正方法】変更

【補正の内容】

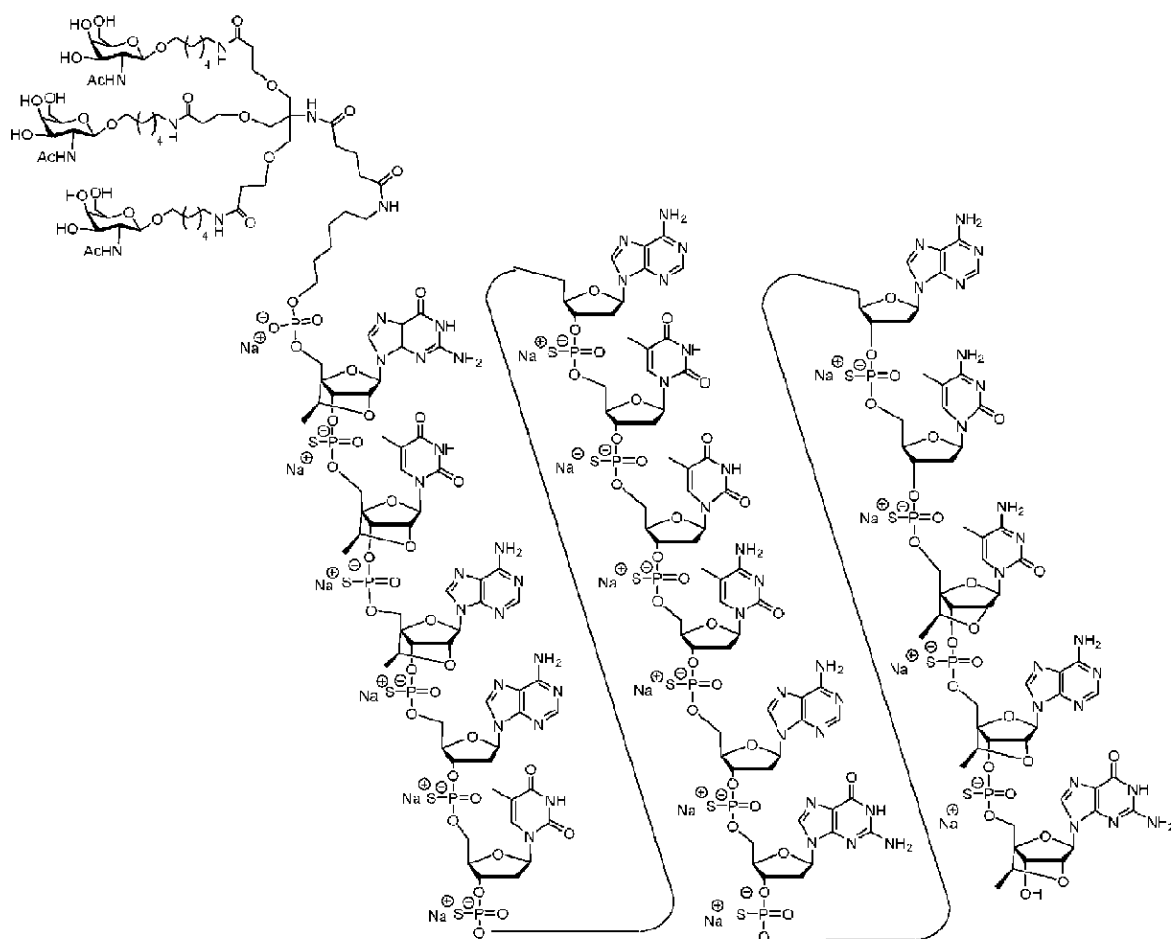
【0138】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2178）を有する975612のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 8】



10

20

【手続補正 8】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0139

【補正方法】変更

【補正の内容】

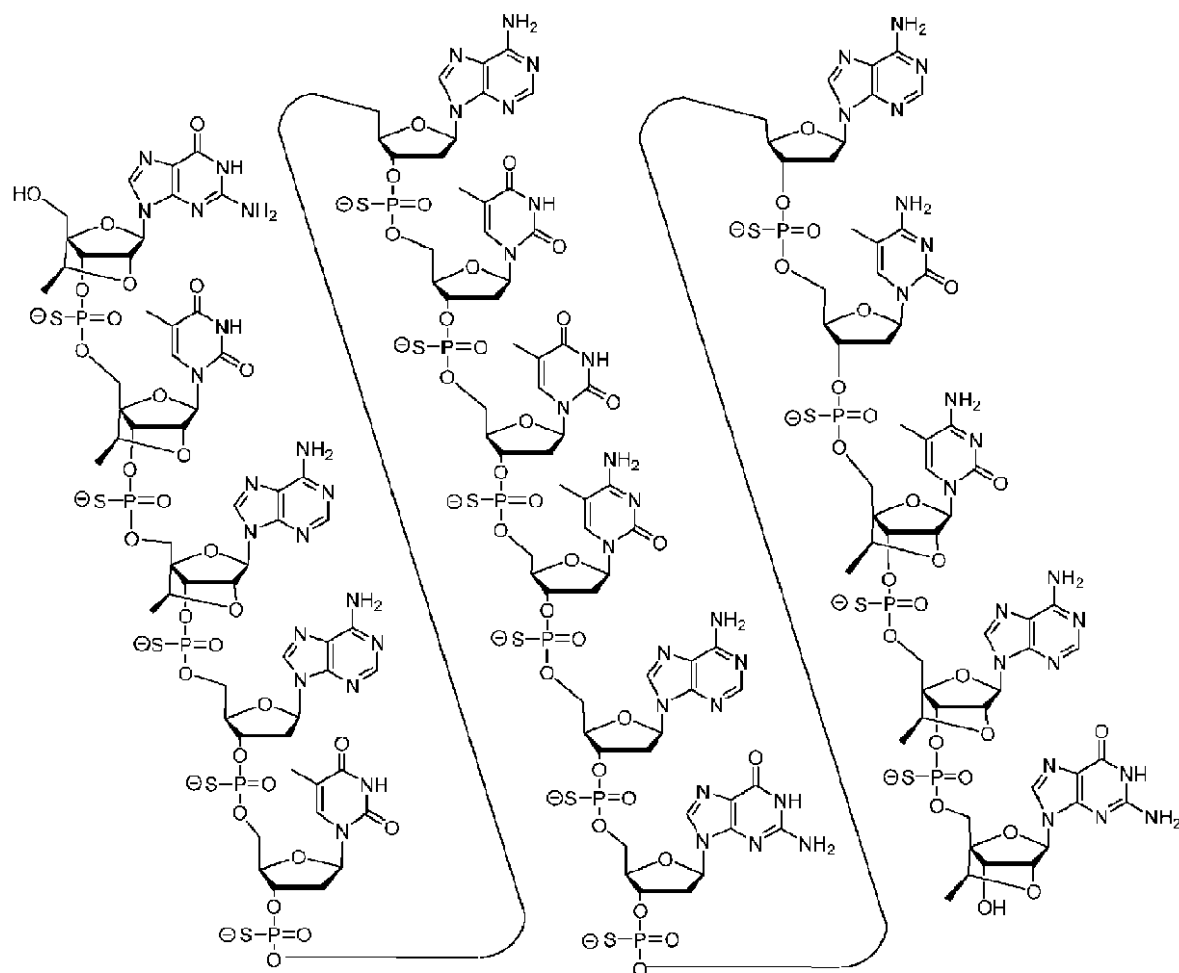
【0139】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2177）を有するION 916789又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 9】



10

20

【手続補正 9】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0140

【補正方法】変更

【補正の内容】

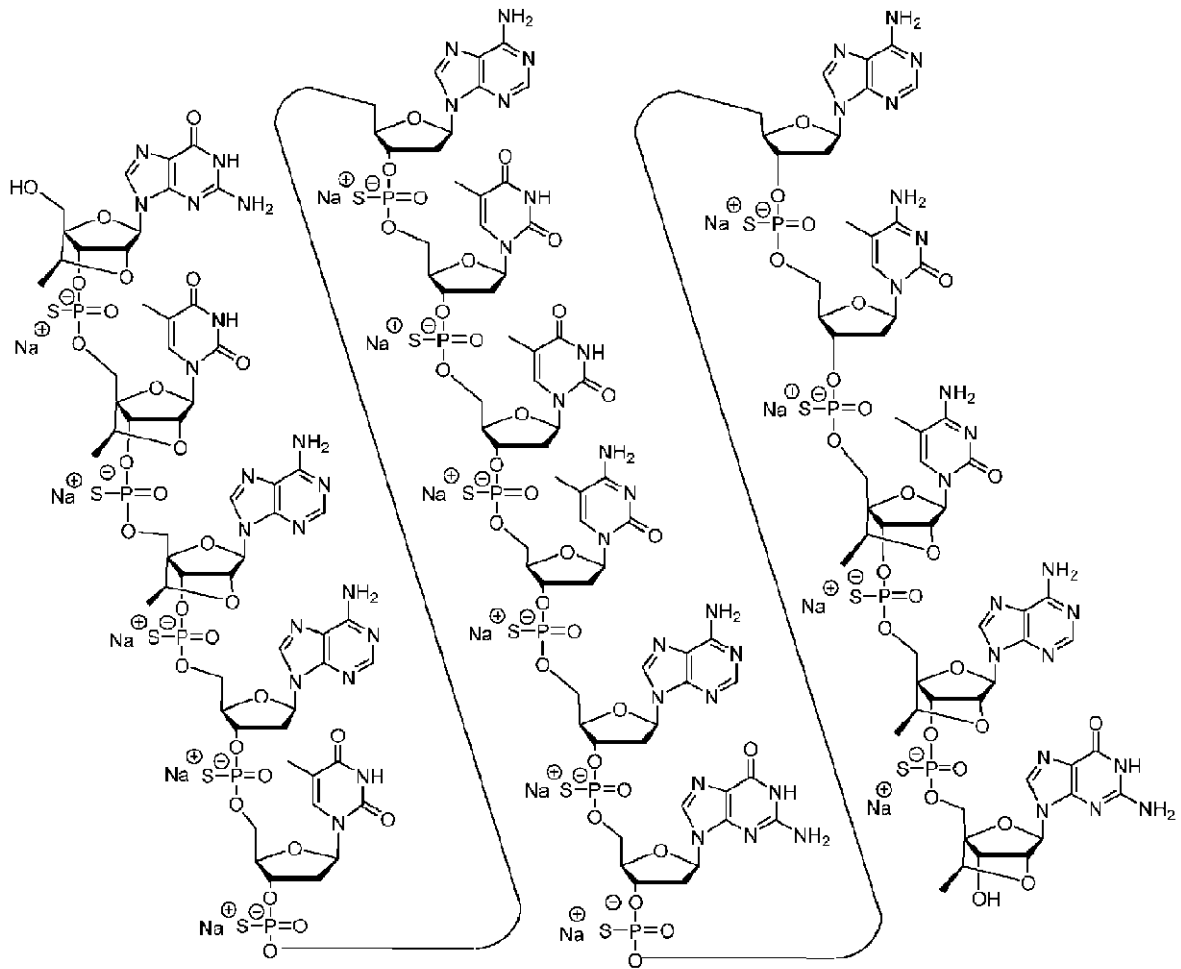
【0140】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2177）を有する 916789 のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 0】



10

20

【手続補正 1 0】

30

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 4 1

【補正方法】変更

【補正の内容】

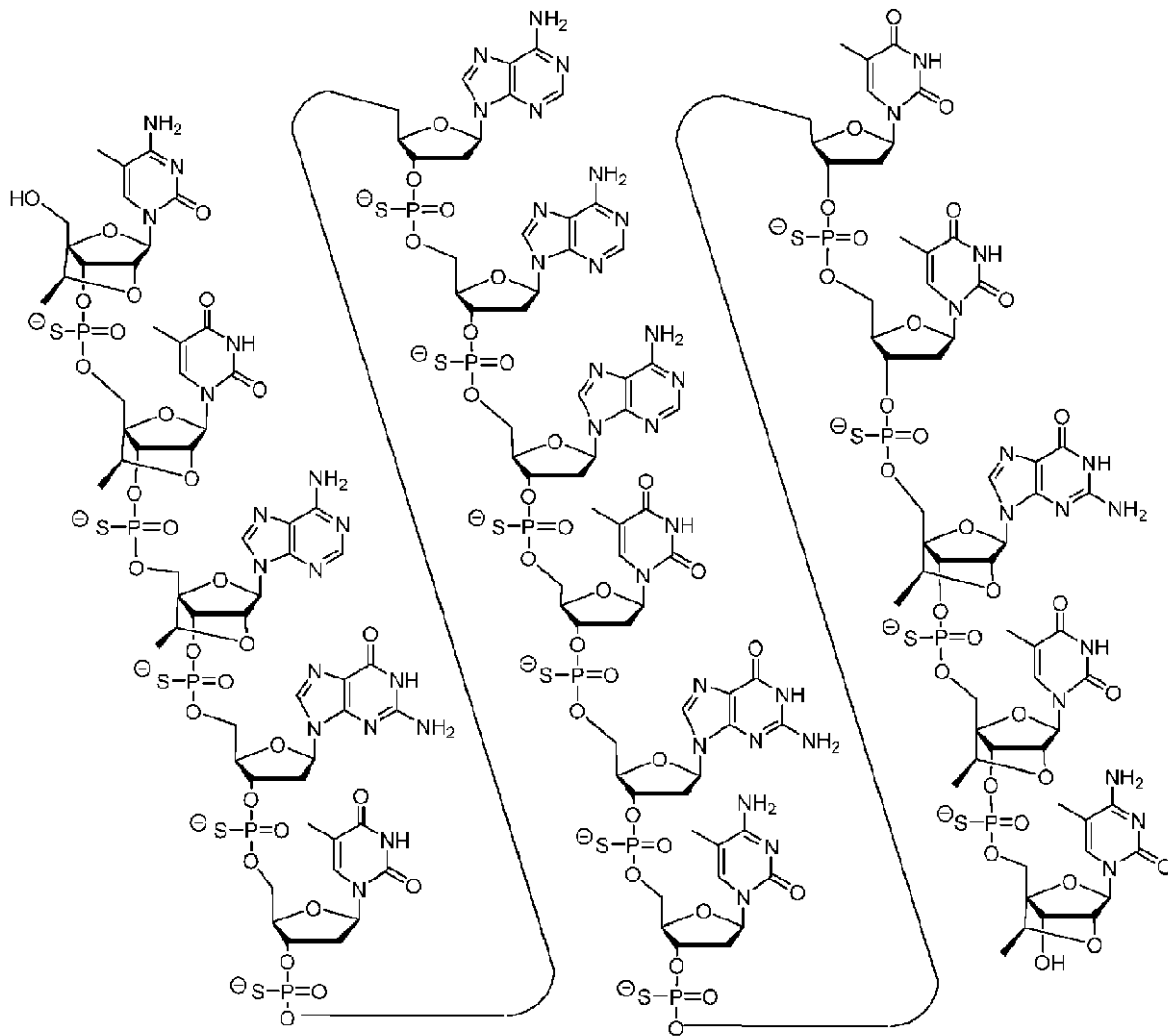
【0 1 4 1】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 5）を有する I O N 9 1 6 6 0 2 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 1】



10

20

30

【手続補正 1 1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 4 2

【補正方法】変更

【補正の内容】

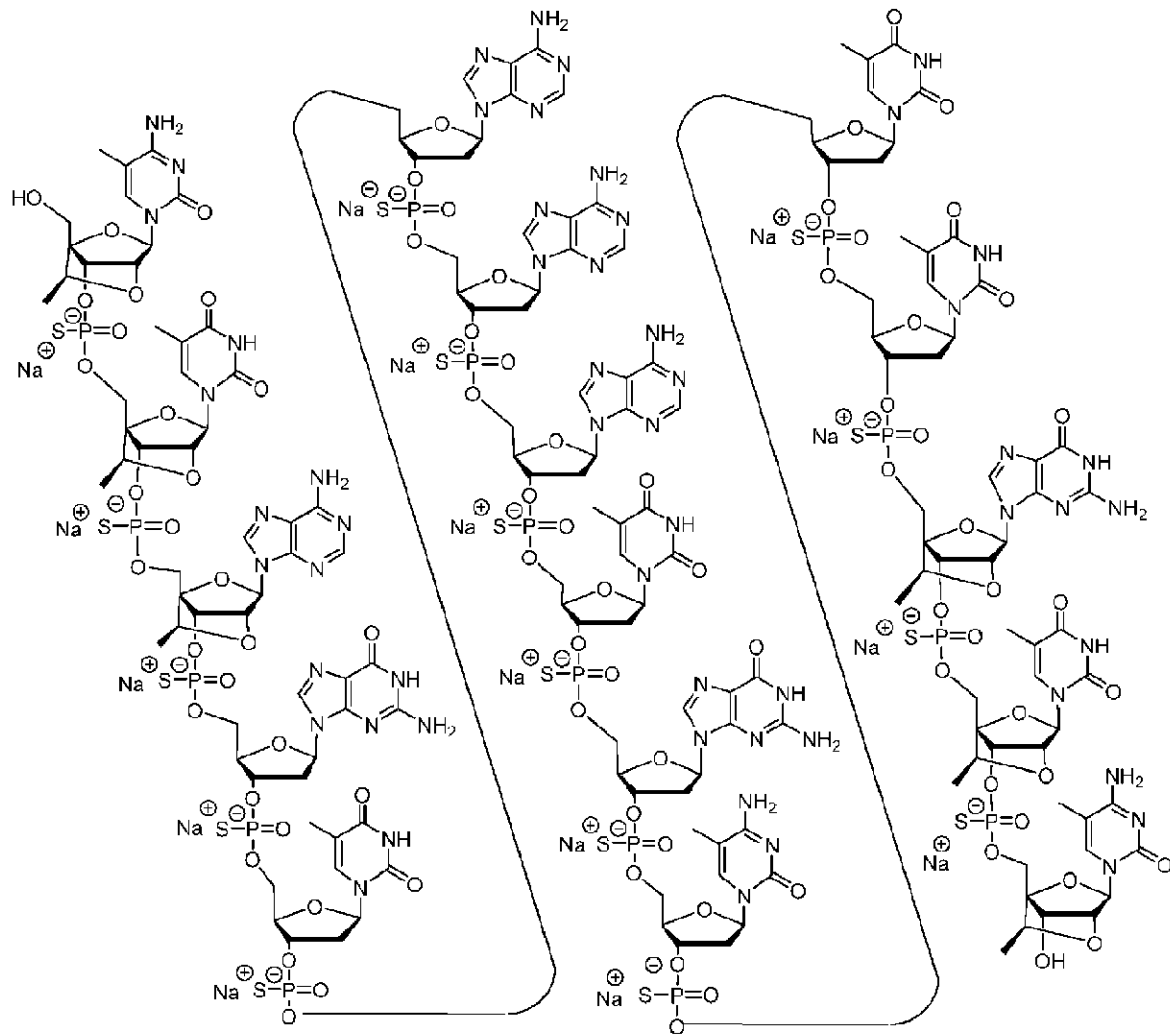
【0 1 4 2】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 5）を有する 9 1 6 6 0 2 のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 2】



10

20

30

【手続補正 1 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 6 6

【補正方法】変更

【補正の内容】

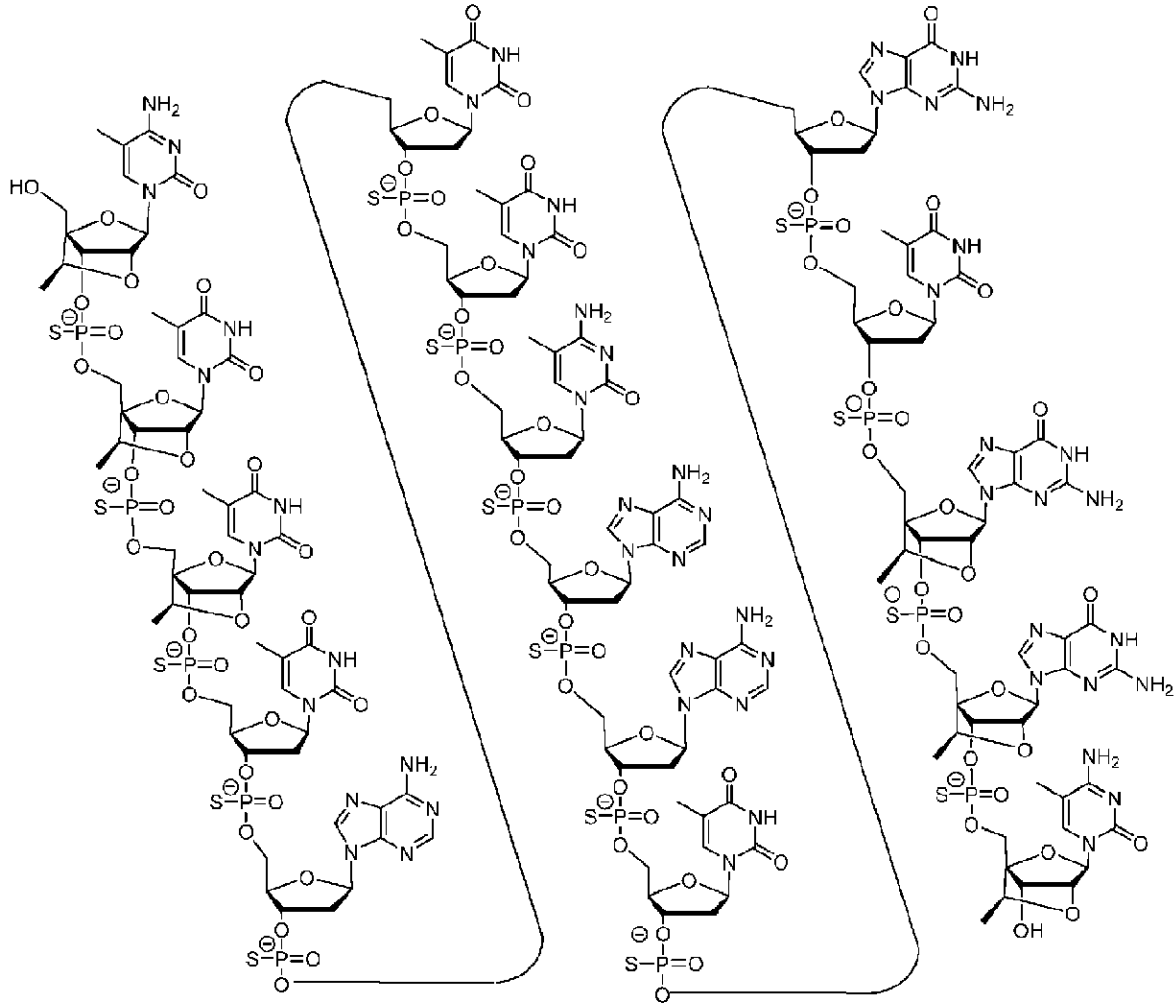
【0 1 6 6】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 3）を有する I O N 9 1 6 3 3 3 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 3】



10

20

30

【手続補正 1 3】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 6 7

【補正方法】変更

【補正の内容】

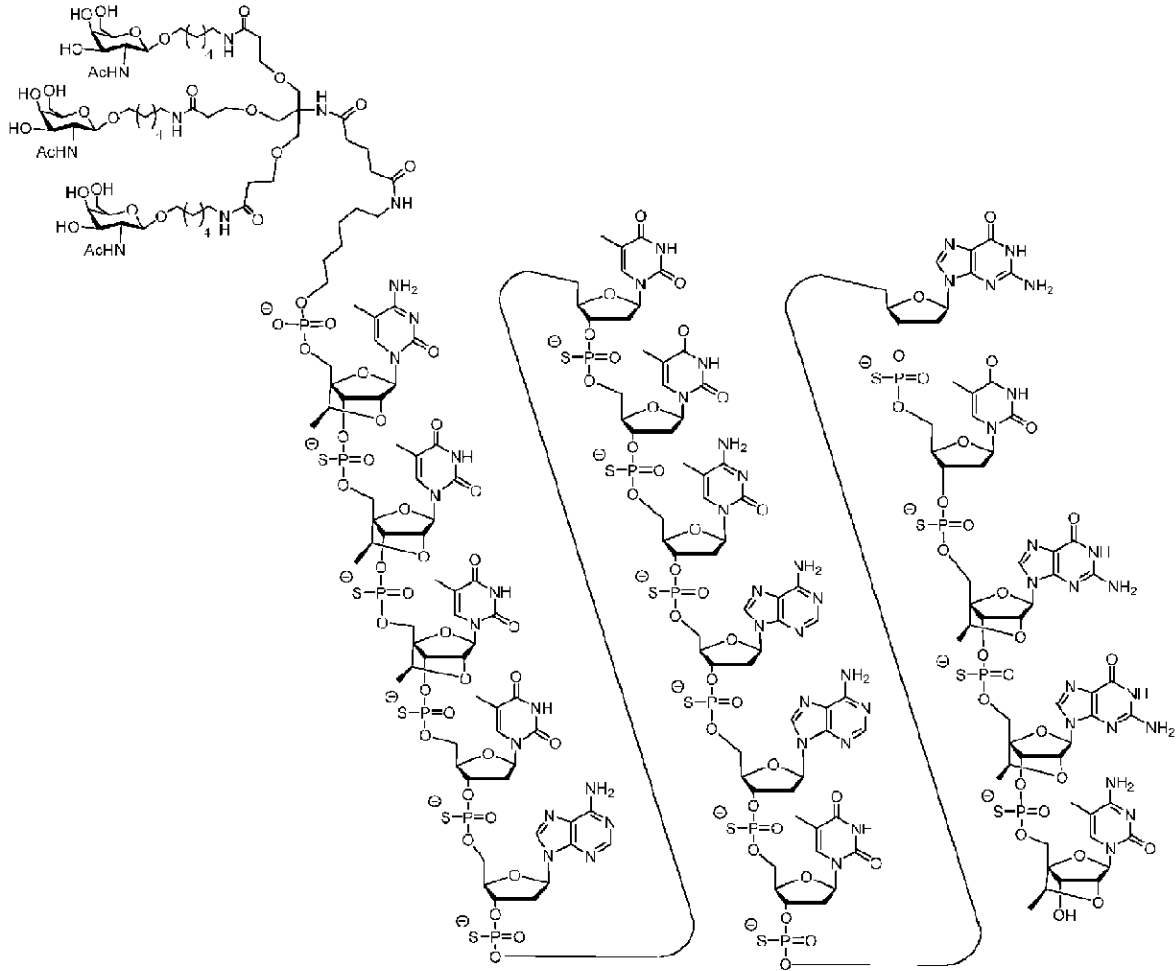
【0 1 6 7】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 4）を有する I O N 9 7 5 6 1 6 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 4】



10

20

【手続補正 1 4】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0 1 6 8

【補正方法】変更

【補正の内容】

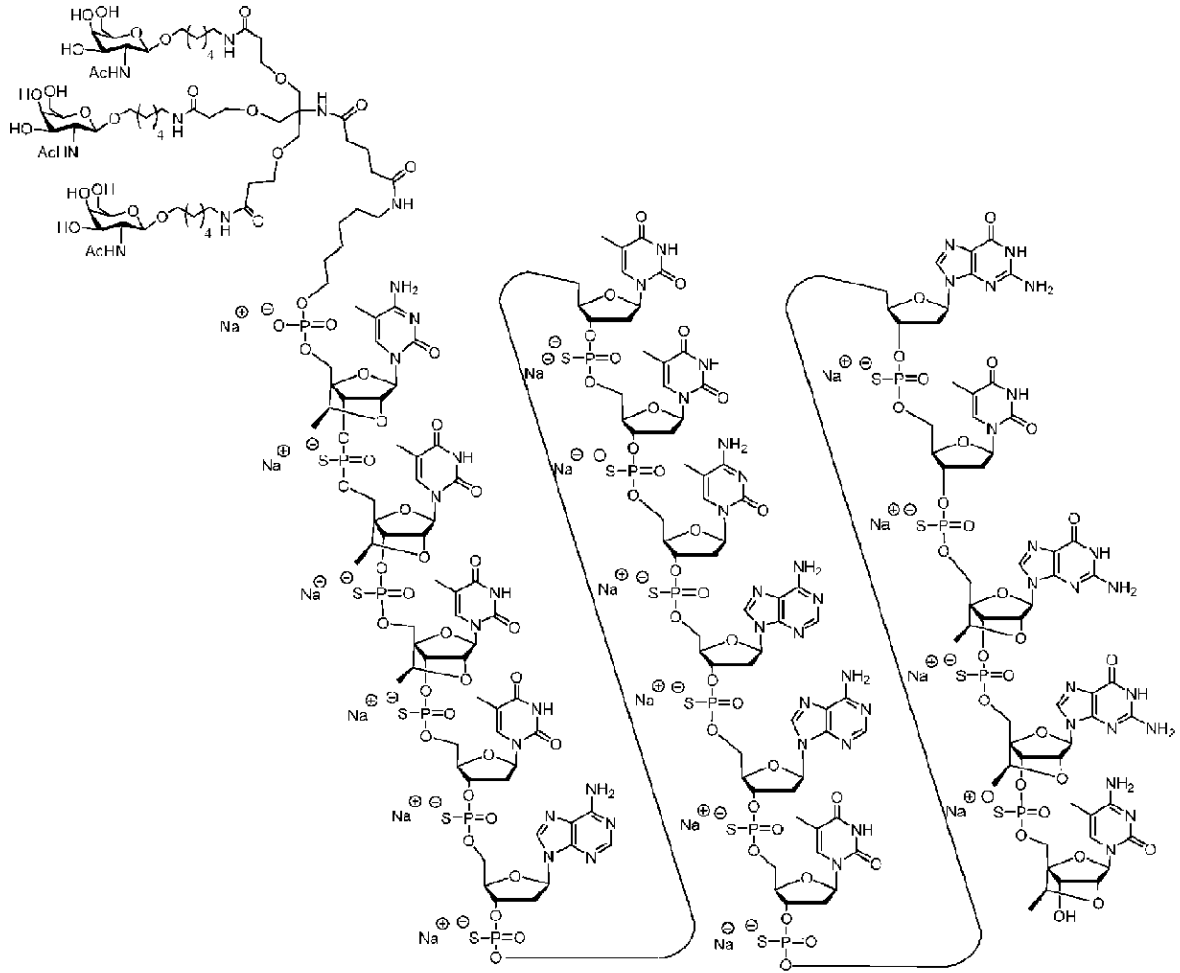
【0 1 6 8】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 4）を有する 9 7 5 6 1 6 のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 5】



10

20

【手続補正 1 5】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0 1 6 9

【補正方法】変更

【補正の内容】

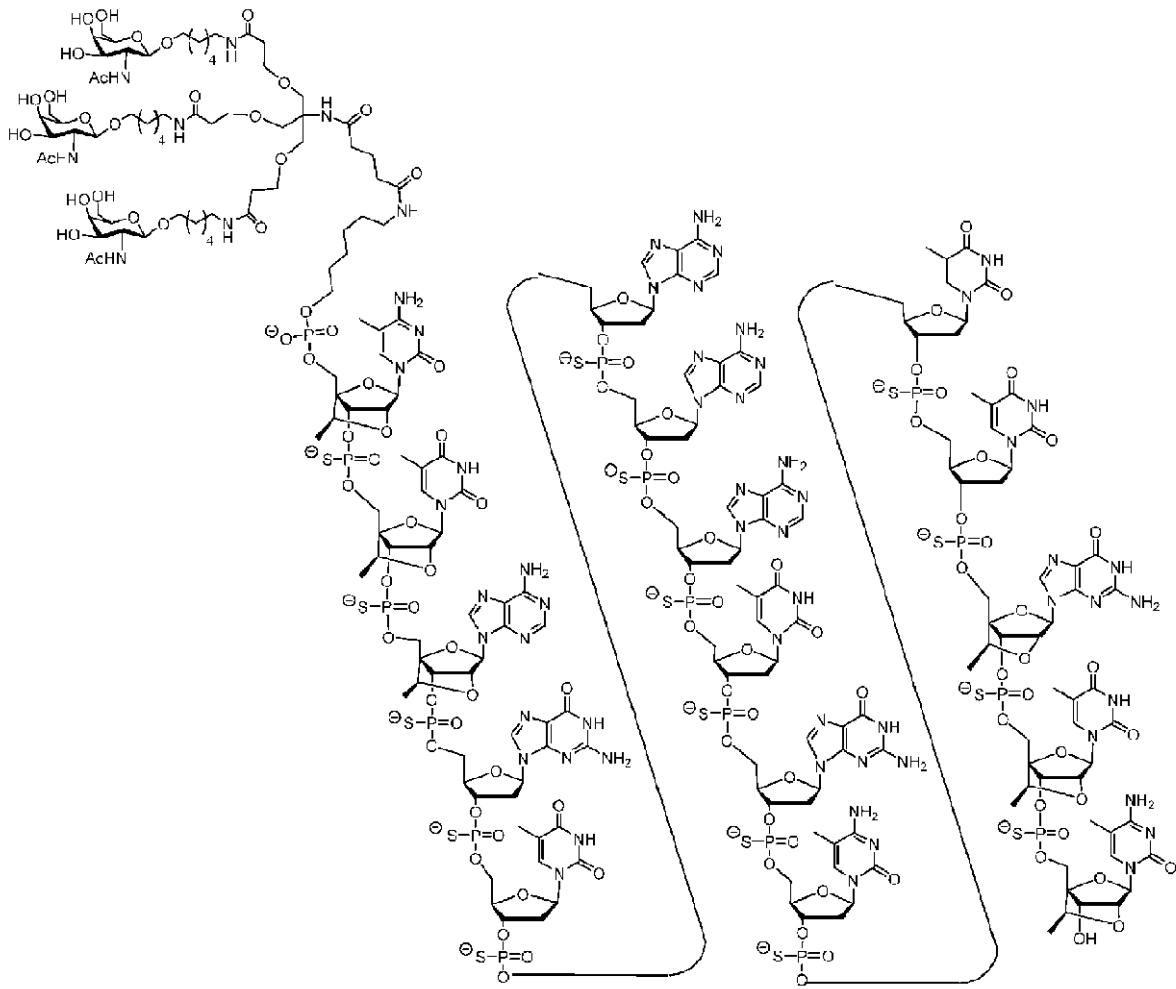
【0 1 6 9】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 6）を有する I O N 9 7 5 6 1 3 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 6】



10

20

【手続補正 1 6】

30

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 7 0

【補正方法】変更

【補正の内容】

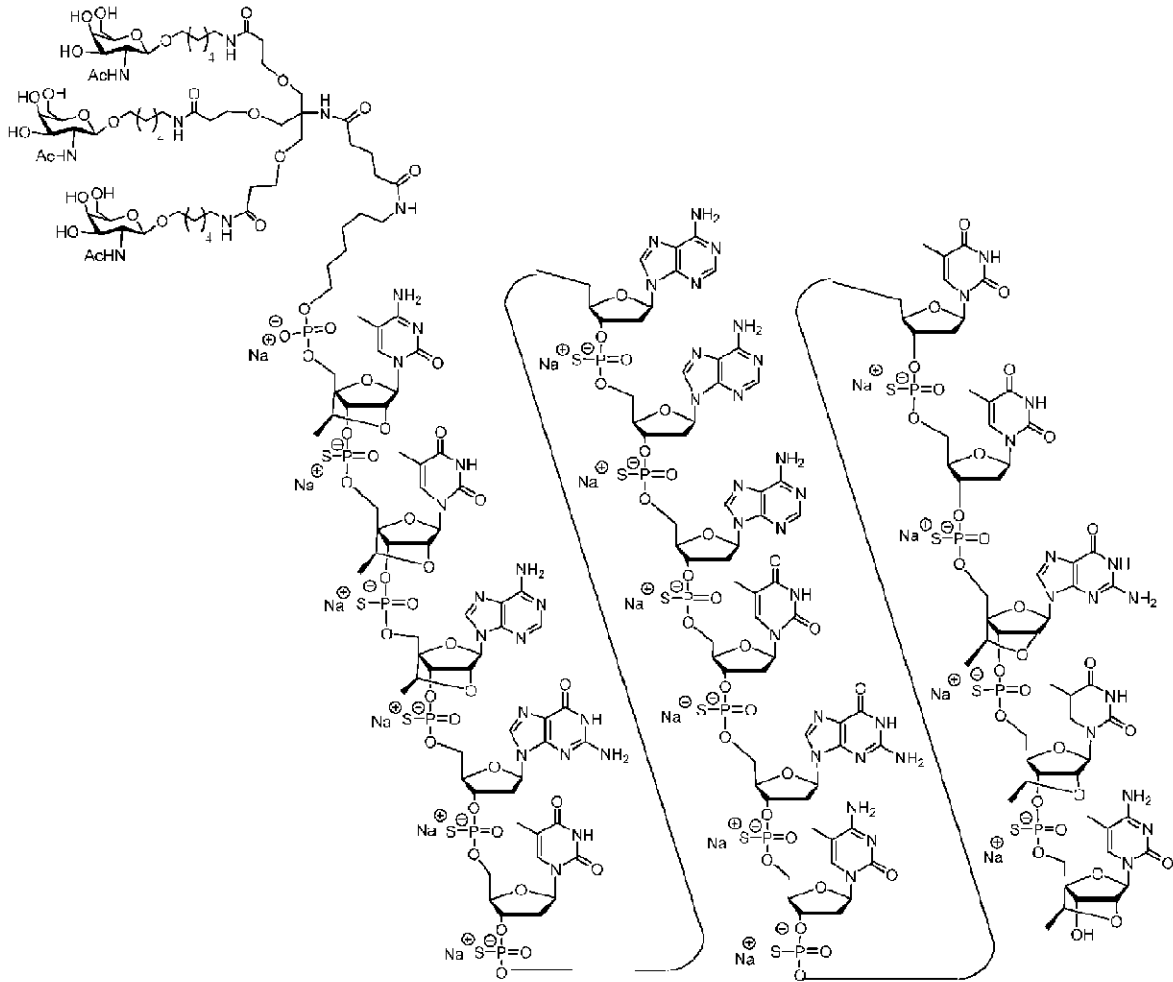
【0 1 7 0】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 6）を有する 9 7 5 6 1 3 のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 7】



10

20

【手続補正 1 7】

30

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 7 1

【補正方法】変更

【補正の内容】

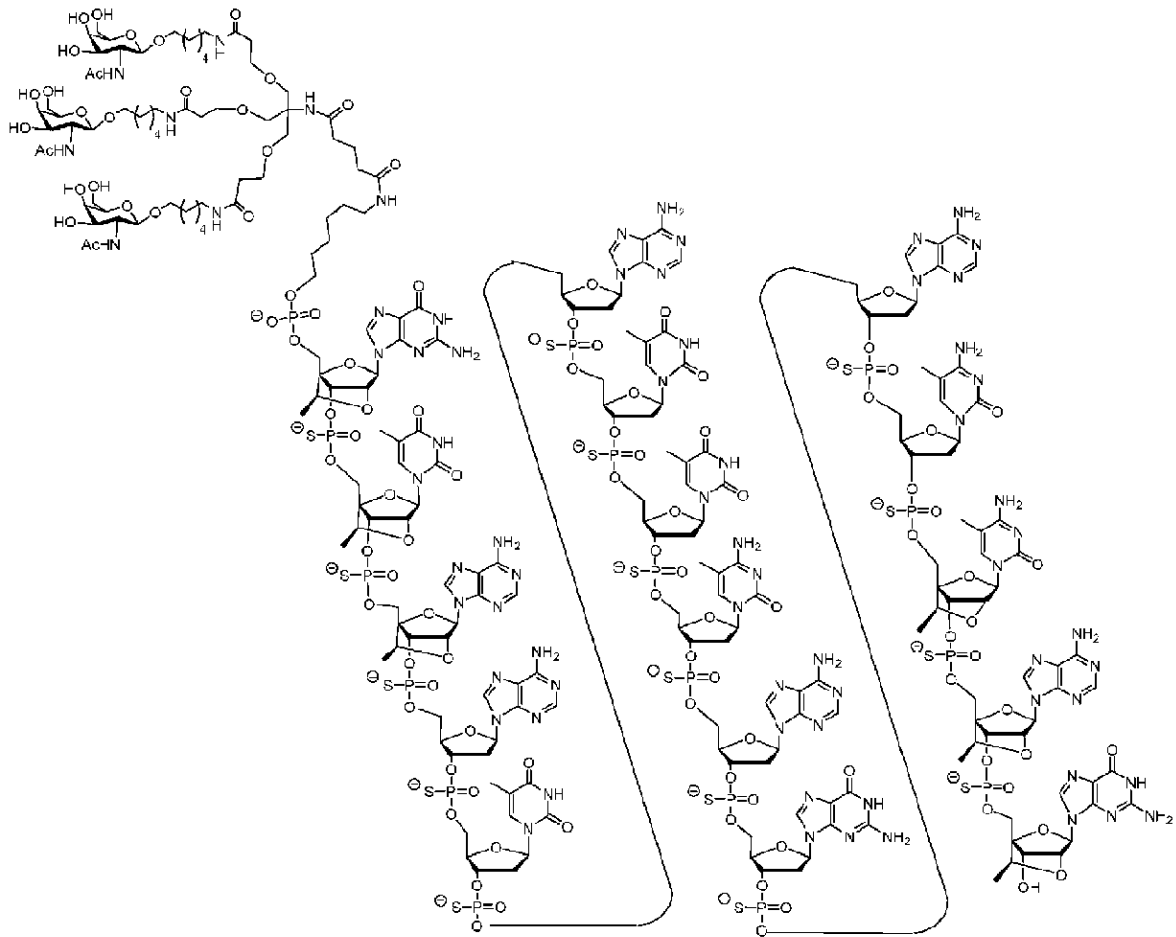
【0 1 7 1】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 8）を有する I O N 9 7 5 6 1 2 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 1 8】



10

20

【 手 続 補 正 1 8 】

【 補 正 対 象 書 類 名 】 明 細 書

30

【 補 正 対 象 項 目 名 】 0 1 7 2

【 補 正 方 法 】 変 更

【 補 正 の 内 容 】

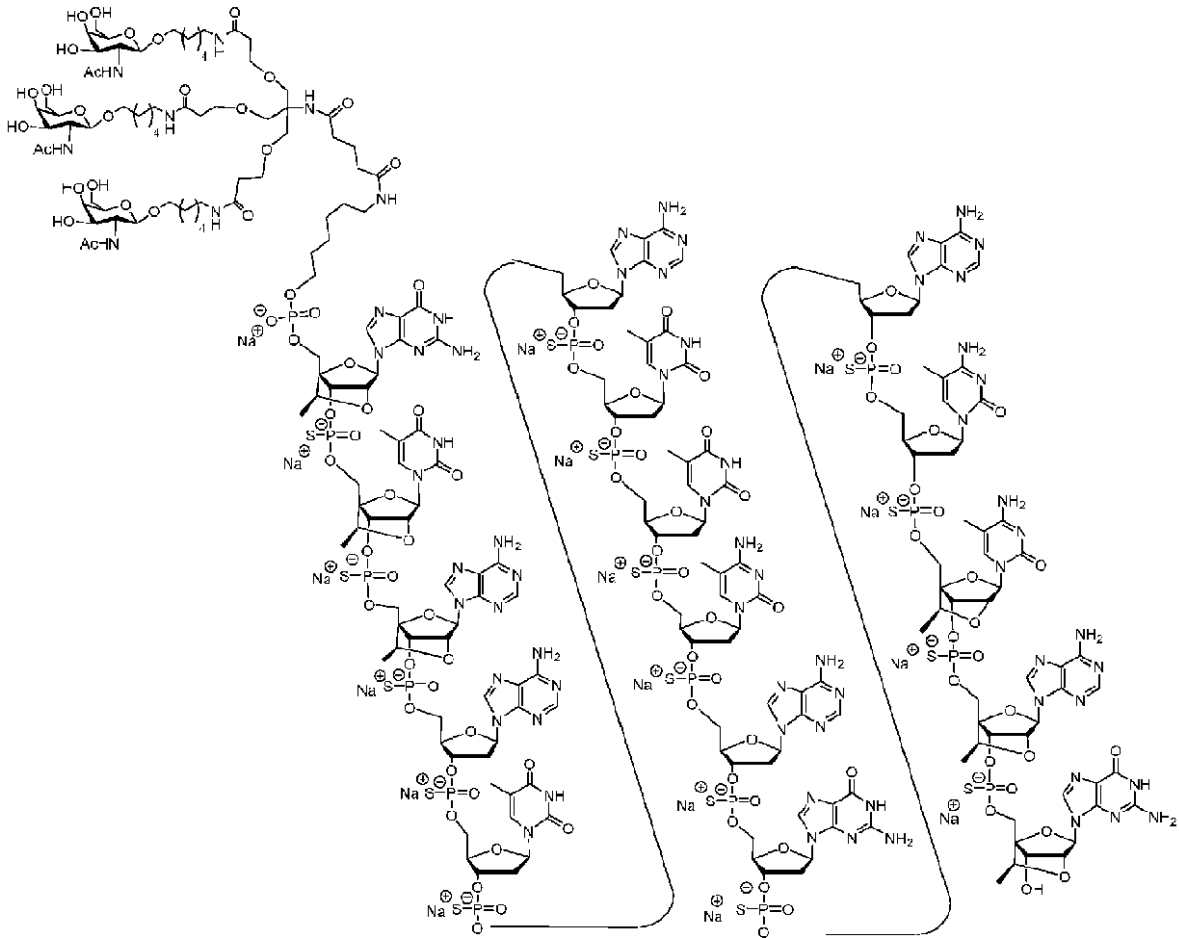
【 0 1 7 2 】

特 定 の 実 施 形 態 で は 、 化 合 物 は 、 以 下 の 化 学 構 造 (配 列 番 号 : 2 1 7 8) を 有 す る 9 7 5 6 1 2 の ナ ト リ ウ ム 塩 を 含 む か 又 は そ れ か ら な る 。

40

50

【化 1 9】



10

20

【手続補正 1 9】

【補正対象書類名】明細書

30

【補正対象項目名】0 1 7 3

【補正方法】変更

【補正の内容】

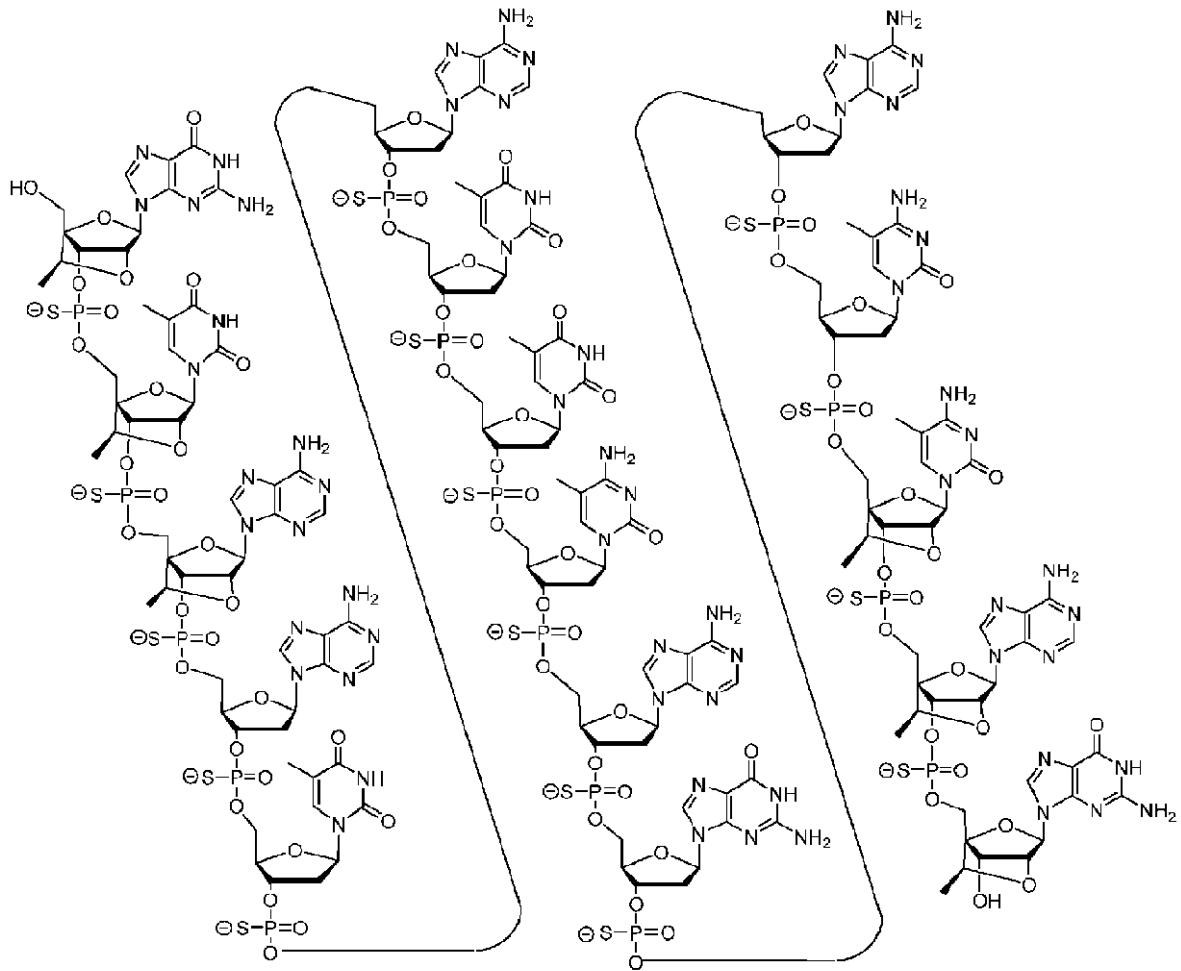
【0 1 7 3】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 7）を有する I O N 9 1 6 7 8 9 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 2 0】



10

20

【手続補正 2 0】

30

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 7 4

【補正方法】変更

【補正の内容】

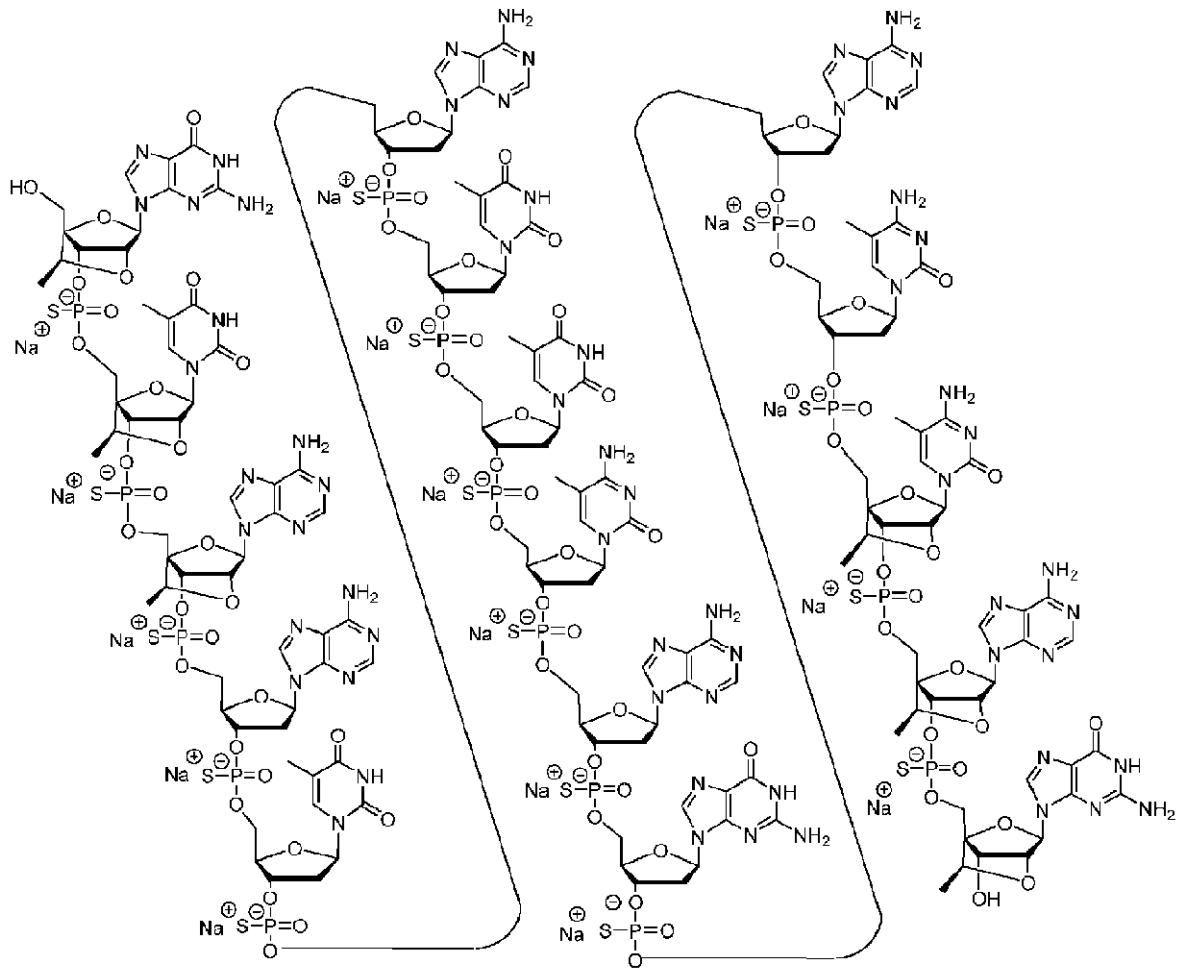
【0 1 7 4】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 7）を有する 9 1 6 7 8 9 のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 2 1】



10

20

【手続補正 2 1】

30

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 7 5

【補正方法】変更

【補正の内容】

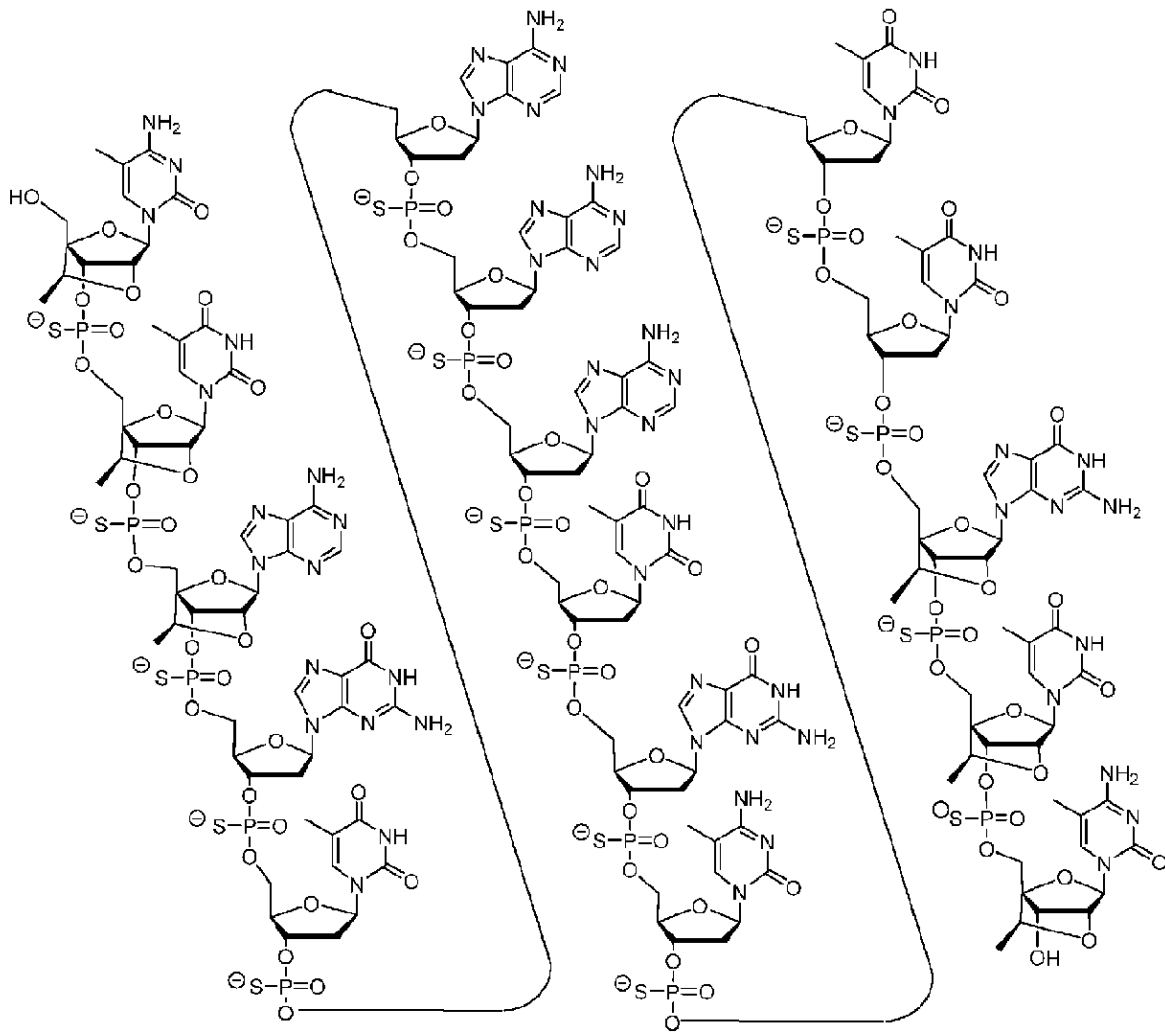
【0 1 7 5】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 5）を有する I O N 9 1 6 6 0 2 又はその塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 2 2】



10

20

30

【手続補正 2 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 1 7 6

【補正方法】変更

【補正の内容】

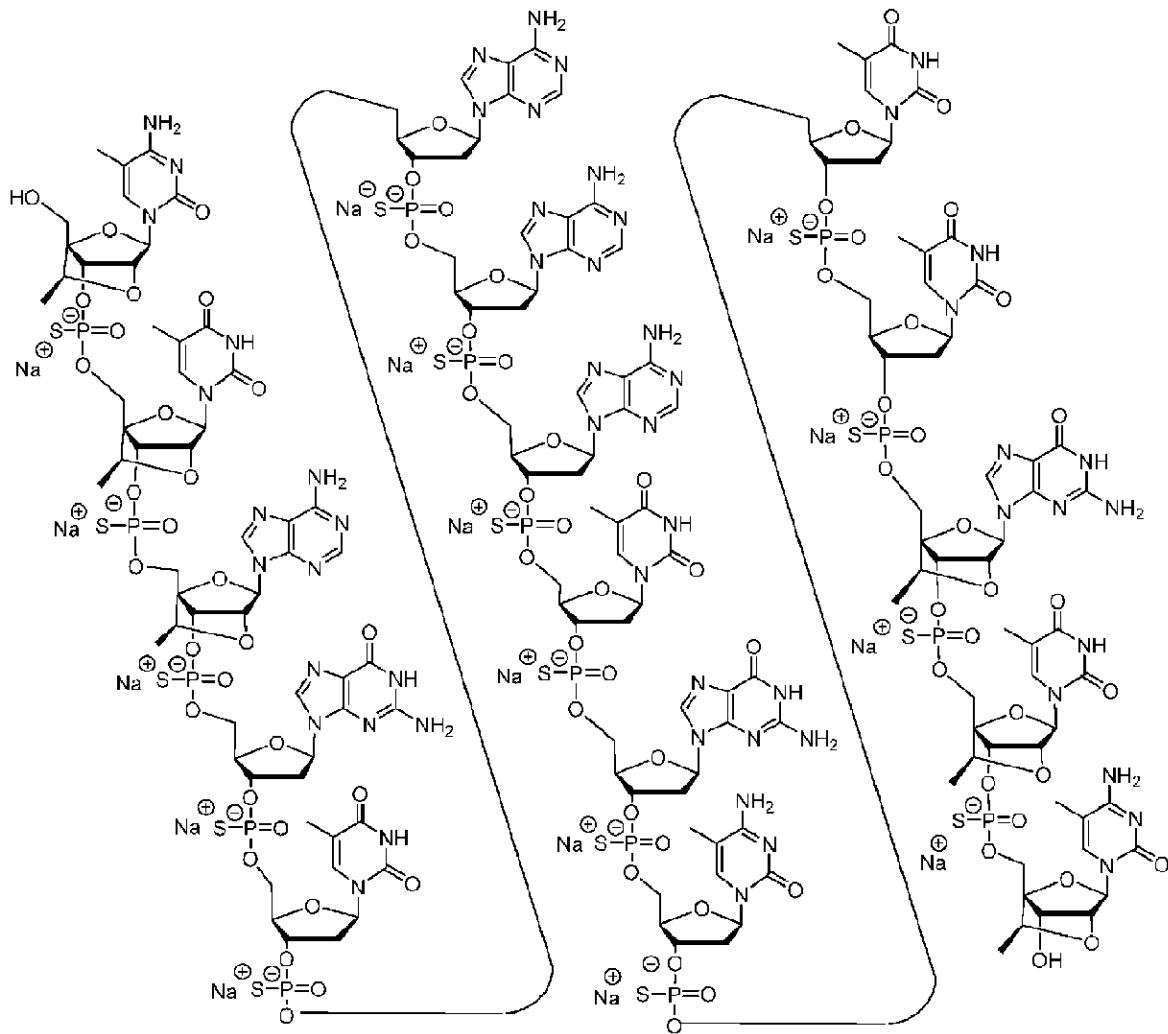
【0 1 7 6】

特定の実施形態では、化合物は、以下の化学構造（配列番号：2 1 7 5）を有する 9 1 6 6 0 2 のナトリウム塩を含むか又はそれからなる。

40

50

【化 2 3】



10

20

30

【手続補正 2 3】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 3 2 8

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 3 2 8】

40

50

【表 1 3】

916562	N/A	N/A	12316	12331	TATATAACCACAGCCT	58	328
916582	N/A	N/A	12932	12947	ATAAGAGCTGTCTCCT	94	329
916602	N/A	N/A	13703	13718	CTAGTAAATGCTTGTC	96	2175
916622	N/A	N/A	14177	14192	CTAATATTTCTACAGC	0	331
916642	N/A	N/A	14672	14687	CTCTTAGTGTCCCAT	95	332
916662	N/A	N/A	15542	15557	TTCCATCACAAGGCCT	50	333
916682	N/A	N/A	16317	16332	TCCATAATGCACAAAGA	71	334
916702	N/A	N/A	17223	17238	TGTAGCTGGTTTGTGG	88	335
916722	N/A	N/A	18223	18238	AAACAGCTACATCAGGC	44	336
916742	N/A	N/A	19249	19264	GGCATGACATAGAC	74	337
916761	N/A	N/A	20410	20425	GTAAGCAATGCAGCCA	88	338
916781	N/A	N/A	20659	20674	TTAGAAATTGCAGTGC	91	339
916801	N/A	N/A	20989	21004	AGGTATTA AA CTGCCA	25	340
916821	N/A	N/A	21506	21521	GTCTAAGAGCACTCA	57	341
916841	N/A	N/A	22603	22618	GATAAAATCTGCAAGAG	49	342
916861	N/A	N/A	23472	23487	GGGACTTACACTGAAA	66	343
916881	N/A	N/A	24314	24329	GTCACGCAGACTGCT	33	344

10

【手続補正 2 4】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 3 4 8

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 3 4 8】

【表 3 3】

916570	N/A	N/A	12694	12709	TTCTTGACCGTGTTC	98	888
916590	N/A	N/A	12990	13005	CCGGAATAAGCCTCCA	47	889
916610	N/A	N/A	13822	13837	TGTACAATGGGACGGA	69	890
916630	N/A	N/A	14418	14433	ATCGACACAGCATCAC	92	891
916650	N/A	N/A	15138	15153	TGCCATAACGGCTCCC	0	892
916670	N/A	N/A	15758	15773	GGTTTATAACA ACT GGA	89	893
916690	N/A	N/A	16722	16737	GCCTTGAGGTGGGTGG	0	894
916710	N/A	N/A	17512	17527	AGTCATGGGATGTGCA	58	895
916730	N/A	N/A	18395	18410	ATGTTTGGGAAGTCGCC	92	896
916750	N/A	N/A	19473	19488	AAGGATCCTGCTTCTA	9	897
916769	N/A	N/A	20554	20569	GCTTACTATGGGATGA	62	898
916789	N/A	N/A	20809	20824	GTAATATTCAGACCAG	96	2177
916809	N/A	N/A	21254	21269	ATCCATGCAIGGCACA	72	900
916829	N/A	N/A	21979	21994	GTCAGACACGGAGACA	0	901
916849	N/A	N/A	23110	23125	GGCTTTTGAAGGAGAG	84	902
916869	N/A	N/A	23787	23802	TATTTACCTGGAGGCG	0	903
916889	N/A	N/A	24612	24627	CAAAATCGGATCTTTGC	44	904

30

40

【手続補正 2 5】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 3 5 5

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 3 5 5】

50

【表 4 0】

916193	2306	2321	26069	26084	ACCCAACCGATTTTTT	61	1082
916213	2636	2651	26399	26414	CTGAGGTGAATGCCCT	73	1083
916233	2697	2712	26460	26475	TTGTGTGCTCCAGTGG	92	1084
916253	2746	2761	26509	26524	TCACTGACCATGTGGG	16	1085
916273	N/A	N/A	3362	3377	CTTCATGCACGGGCGC	37	1086
916293	N/A	N/A	4462	4477	GCATAATCTCCTGCCT	0	1087
916313	N/A	N/A	5284	5299	GCCATAAATCTTGGGA	37	1088
916333	N/A	N/A	5605	5620	CTTTATTCAATGTGGC	97	2173
916353	N/A	N/A	6529	6544	TACAACCTGCCTGTGTT	0	1090
916373	N/A	N/A	7218	7233	AAAGCTTCCGCAAACA	51	1091
916393	N/A	N/A	7657	7672	CTAACATACACCCTCG	0	1092
916553	N/A	N/A	12225	12240	AGCTTCTGGGACAAGC	10	1093
916573	N/A	N/A	12746	12761	GGCATACTAAAACCAC	55	1094
916593	N/A	N/A	13397	13412	TTGAATGTCACCCTTC	91	1095
916613	N/A	N/A	13914	13929	AGTCATGACATCCCAG	93	1096
916633	N/A	N/A	14442	14457	TCTCATGGCACCTGT	86	1097
916653	N/A	N/A	15252	15267	CCCTATCAGATGCCCT	81	1098
916673	N/A	N/A	15799	15814	CATATCTGGTTTCATG	0	1099
916693	N/A	N/A	16842	16857	GACCATAGCACTGTCT	0	1100
916713	N/A	N/A	17737	17752	ATTAATCTGGTCATAT	0	1101
916733	N/A	N/A	18898	18913	TCCATAAAATACGCC	69	1102
916753	N/A	N/A	20195	20210	GAAAGATGGAATCCC	86	1103
916772	N/A	N/A	20604	20619	TACGATCATCATTATT	91	1104
916792	N/A	N/A	20841	20856	GTATTAGCTCAATATT	0	1105
916812	N/A	N/A	21314	21329	GTTTACTAGAGACTCT	64	1106
916832	N/A	N/A	22080	22095	GTAAAACTGTAGGAT	0	1107
916852	N/A	N/A	23220	23235	GATAAATGCCTGACCA	29	1108
916872	N/A	N/A	24011	24026	CCGACGGGAAGTCTTC	0	1109
916892	N/A	N/A	24874	24889	GGCCTATCAGTTTCCC	0	1110

10

20

【手続補正 2 6】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 4 4 6

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 4 4 6】

30

40

50

【表 1 1 7】

表62
CD1マウス忍容性研究において試験した5'-THAオリゴヌクレオチド

化合物ID	非コンジュゲート化親 ION No.	3'-THA対応物 ION No	配列	配列番号
975591	916339	975746	GGATATATTGGGCTCA	1512
975592	912941	975747	TTGCATTGCATAGCCT	182
975593	916306	975748	GTGTACTTTAGGCTCC	598
975600	916332	975755	CACAATGACATCATGG	1020
975605	912848	975760	CGTTTTTAGTAGTCAA	141
975611	916552	975766	CCTTTTATTTCCGTTA	1024
975612	916789	975767	GTAATATTCAGACCAG	2178
975613	916602	975768	CTAGTAAATGCTTGTC	2176
975615	912874	975770	ATACTTTTGGCAAGGC	217
975616	916333	975771	CTTTATTCAATGTGGC	2174
975617	916780	975772	AGAAATTGCAGTGCCC	1665
975674	915619	975829	GACTTTAGGGCAGATG	1400
975704	916335	975859	TAATTCTACCTGTGTC	1227
975718	916586	975873	AACTTTGCAGCCTATC	605
975735	916782	975890	CTTAGAAATTGCAGTG	408
975736	916788	975891	TAATATTCAGACCAGG	830
975738	916815	975893	CAATTCTAGACATGGC	1313
975742	916822	975897	TATGACATTTTCAGAGT	410
975743	916845	975898	GTAAAGATGTGAGTGA	618
994282	959455	994288	TTGGATATATTGGGCT	1982
994283	960010	994289	AGACATATGACATTTTC	1745
994284	959361	994290	TTTTTAGTAGTCAAGG	1757
994285	959271	994291	GTTGAAGGATGGATGG	1748

10

20

30

【手続補正 2 7】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 4 8 8

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 4 8 8】

40

50

【表 1 3 1】

表76
ヒトPNPLA3を標的化する修飾オリゴヌクレオチド

開始部位	停止部位	配列	化合物番号	化学的構造	配列番号
5599	5614	TCAATGTGGCTTCTAG	995553	kkk-d10-kkk	2170
5600	5615	TTCAATGTGGCTTCTA	959437	kkk-d10-kkk	2089
5601	5616	ATTCAATGTGGCTTCT	959438	kkk-d10-kkk	2171
5602	5617	TATTCAATGTGGCTTC	959439	kkk-d10-kkk	2172
5603	5618	TTATTCAATGTGGCTT	959440	kkk-d10-kkk	1705
5603	5618	TTATTCAATGTGGCTT	995696	k-d10-kekek	1705
5603	5618	TTATTCAATGTGGCTT	995906	kk-d9-eeekk	1705
5603	5618	TTATTCAATGTGGCTT	996116	kk-d9-ekeke	1705
5604	5619	TTTATTCAATGTGGCT	959441	kkk-d10-kkk	1765
5604	5619	TTTATTCAATGTGGCT	995697	k-d10-kekek	1765
5604	5619	TTTATTCAATGTGGCT	995907	kk-d9-eeekk	1765
5604	5619	TTTATTCAATGTGGCT	996117	kk-d9-ekeke	1765
5605	5620	CTTTATTCAATGTGGC	916333	kkk-d10-kkk	2173
5605	5620	CTTTATTCAATGTGGC	995698	k-d10-kekek	1089
5605	5620	CTTTATTCAATGTGGC	995908	kk-d9-eeekk	1089
5605	5620	CTTTATTCAATGTGGC	996118	kk-d9-ekeke	1089
5605	5620	CTTTATTCAATGTGGC	996277	kek-d9-eeekk	1089
5606	5621	ACTTTATTCAATGTGG	916334	kkk-d10-kkk	1158
5606	5621	ACTTTATTCAATGTGG	995699	k-d10-kekek	1158
5606	5621	ACTTTATTCAATGTGG	995909	kk-d9-eeekk	1158
5606	5621	ACTTTATTCAATGTGG	996119	kk-d9-ekeke	1158
5607	5622	TACTTTATTCAATGTG	959442	kkk-d10-kkk	1825
5608	5623	TTACTTTATTCAATGT	959443	kkk-d10-kkk	1885

10

20

30

40

50