

【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 3 部門第 2 区分

【発行日】平成31年4月25日 (2019.4.25)

【公表番号】特表2018-515479(P2018-515479A)

【公表日】平成30年6月14日 (2018.6.14)

【年通号数】公開・登録公報2018-022

【出願番号】特願2017-556986(P2017-556986)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 31/711 (2006.01)

A 6 1 K 31/7115 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 29/00 (2006.01)

A 6 1 P 19/02 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 9/14 (2006.01)

A 6 1 K 47/26 (2006.01)

A 6 1 K 47/38 (2006.01)

A 6 1 K 47/36 (2006.01)

A 6 1 K 47/34 (2017.01)

A 6 1 K 47/32 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/711

A 6 1 K 31/7115

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 29/00 1 0 1

A 6 1 P 19/02

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 K 9/14

A 6 1 K 47/26

A 6 1 K 47/38

A 6 1 K 47/36

A 6 1 K 47/34

A 6 1 K 47/32

【手続補正書】

【提出日】平成31年3月13日 (2019.3.13)

【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】

核酸、カチオン性ポリマー、及び炭水化物溶液を含み、前記核酸及び前記カチオン性ポリマーが、複合体を形成し、前記炭水化物対前記核酸－ポリマー複合体の重量／重量比が、50から1000である組成物。

【請求項 2】

凍結乾燥前の形態又は凍結乾燥された形態である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

前記複合体が、前記少なくとも 1 つの核酸及び少なくとも 1 つのカチオン性ポリマーを含むナノ粒子の形態である、請求項 1 又は 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

前記ナノ粒子が、約 40 から約 90 nm のサイズである、請求項 3 に記載の組成物。

【請求項 5】

前記比が、500 未満、又は 250 未満 である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 6】

少なくとも 1 つの核酸が、少なくとも 1 つの核酸含有材料である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 7】

前記核酸が、DNA 又は RNA、若しくは DNA 又は RNA の塩基類似体である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 8】

前記核酸が、プラスミドであり、DNA、shRNA、siRNA、及びオリゴヌクレオチドから任意に選択される、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記プラスミドが、H19 制御配列を有する、請求項 8 に記載の組成物。

【請求項 10】

少なくとも 1 つの炭水化物が、一般式 $(CH_2O)_n$ を有し、サッカリド、ポリサッカリド、及びオリゴサッカリドから選択される化合物である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 11】

前記少なくとも 1 つの炭水化物が、トレハロース、グルコース、スクロース、ラクトース、マンニトール、ソルビトール、ラフィノース、PVP、及びデキストロースから選択される、請求項 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

前記少なくとも 1 つの炭水化物が、グルコース又はスクロースではない、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 13】

前記少なくとも 1 つの炭水化物が、トレハロースである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 14】

前記少なくとも 1 つのカチオン性ポリマーが、親水性又は両親媒性のカチオン性ポリマーである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 15】

前記少なくとも 1 つのカチオン性ポリマーが、ポリエチレンイミン (PEI) であり、任意には、直鎖状 PEI である、請求項 14 に記載の組成物。

【請求項 16】

前記 PEI のアミン基の前記核酸のリン酸基のモル数に対するモル比が、2 から 10 である、請求項 15 に記載の組成物。

【請求項 17】

少なくとも 1 つの核酸、少なくとも 1 つのカチオン性ポリマー、及び少なくとも 1 つの炭水化物を含む組成物を作製するための方法であって、前記方法は、核酸／炭水化物溶液をカチオン性ポリマー／炭水化物溶液に、前記少なくとも 1 つの核酸と前記少なくとも 1

つのカチオン性ポリマーとの間の複合体の形成が可能となる条件下で添加することを含む、方法。

【請求項 18】

(a) 少なくとも 1 つの核酸及び少なくとも 1 つの炭水化物の溶液を得ること；

(b) 少なくとも 1 つのカチオン性ポリマー及び少なくとも 1 つの炭水化物の溶液を得ること；

(c) 前記核酸／炭水化物溶液を前記カチオン性ポリマー／炭水化物溶液に、前記少なくとも 1 つの核酸と前記少なくとも 1 つのカチオン性ポリマーとの間の複合体の形成が可能となる条件下で添加すること；並びに

(d) 所望に応じて、前記混合された核酸／カチオン性ポリマー／炭水化物溶液を凍結乾燥して、凍結乾燥された組成物を形成することを含む、請求項 17 に記載の方法。