

【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7月1日(2024.7.1)

【国際公開番号】WO2023/112931

【出願番号】特願2023-567797(P2023-567797)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)  
 A 6 1 K 31/7088(2006.01)  
 A 6 1 K 31/712(2006.01)  
 A 6 1 K 31/7125(2006.01)  
 A 6 1 K 48/00(2006.01)  
 A 6 1 P 25/00(2006.01)  
 A 6 1 P 25/08(2006.01)  
 A 6 1 P 25/14(2006.01)  
 A 6 1 P 25/28(2006.01)  
 C 0 7 K 14/47(2006.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113            Z Z N A  
 A 6 1 K 31/7088  
 A 6 1 K 31/712  
 A 6 1 K 31/7125  
 A 6 1 K 48/00  
 A 6 1 P 25/00  
 A 6 1 P 25/08  
 A 6 1 P 25/14  
 A 6 1 P 25/28  
 C 0 7 K 14/47

20

【手続補正書】

30

【提出日】令和6年6月14日(2024.6.14)

【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

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

塩基配列が配列番号133で示されるアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

40

【請求項2】

塩基配列が配列番号196の塩基配列で示されるアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項3】

前記アンチセンスオリゴヌクレオチドを構成する少なくとも1つのヌクレオチドの糖部分及び/又はリン酸結合部分が修飾されている、請求項1又は2に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項4】

アンチセンスオリゴヌクレオチドが中央のギャップ領域、及びギャップ領域の5'末端側及び3'末端側に隣接する2つのウイング領域(5'ウイング領域及び3'ウイング領域

50

)を含むギャップマーである、請求項 1 又は 2 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項 5】

ヌクレオシド間の結合が全てホスホロチオエート結合である、請求項 4 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項 6】

5' ウィング領域の 5' 側から 2 番目と 3 番目のヌクレオシド間の結合、3 番目と 4 番目のヌクレオシド間の結合、及び 4 番目と 5 番目のヌクレオシド間の結合の一つ以上がホスホジエステル結合であり、ならびに / 又は 3' ウィング領域の 5' 側から 1 番目と 2 番目のヌクレオシド間の結合、2 番目と 3 番目のヌクレオシド間の結合、及び 3 番目と 4 番目のヌクレオシド間の結合の一つ以上がホスホジエステル結合であり、かつその他のヌクレオシド間の結合が全てホスホロチオエート結合である、請求項 4 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

10

【請求項 7】

5' ウィング領域の 5' 側から 2 番目と 3 番目のヌクレオシド間の結合及び 4 番目と 5 番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、ならびに / 又は 3' ウィング領域の 5' 側から 1 番目と 2 番目のヌクレオシド間の結合及び 3 番目と 4 番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、かつその他のヌクレオシド間の結合が全てホスホロチオエート結合である、請求項 6 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

20

【請求項 8】

5' ウィング領域の 5' 側から 2 番目と 3 番目のヌクレオシド間の結合、3 番目と 4 番目のヌクレオシド間の結合、及び 4 番目と 5 番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、ならびに / 又は 3' ウィング領域の 5' 側から 1 番目と 2 番目のヌクレオシド間の結合、2 番目と 3 番目のヌクレオシド間の結合、及び 3 番目と 4 番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、かつその他のヌクレオシド間の結合が全てホスホロチオエート結合である、請求項 6 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項 9】

ウィング領域が 2'-OMe (2'-O-CH<sub>3</sub>) 基及び / 又は 2'-O-MOE (2'-O-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>OCH<sub>3</sub>) 基を含む、請求項 4 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

30

【請求項 10】

アンチセンスオリゴヌクレオチドが、5'側から3'側にむかって、ヌクレオチド長5の5'ウィング領域、ヌクレオチド長10のギャップ領域、及びヌクレオチド長5の3'ウィング領域で構成されているギャップマーであり、前記ウィング領域の少なくとも1つのヌクレオシドが2'-O-MOE(2'-O-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>OCH<sub>3</sub>)基が導入されたヌクレオシドであり、ヌクレオシド間の結合が全てホスホロチオエート結合である、請求項1又は2に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項 11】

アンチセンスオリゴヌクレオチドが、5'側から3'側にむかって、ヌクレオチド長5の5'ウィング領域、ヌクレオチド長10のギャップ領域、及びヌクレオチド長5の3'ウィング領域で構成されているギャップマーであり、前記ウィング領域の少なくとも1つのヌクレオシドが2'-O-MOE(2'-O-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>OCH<sub>3</sub>)基が導入されたヌクレオシドであり、5'ウィング領域の5'側から2番目と3番目のヌクレオシド間の結合、3番目と4番目のヌクレオシド間の結合、及び4番目と5番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、3'ウィング領域の5'側から1番目と2番目のヌクレオシド間の結合、2番目と3番目のヌクレオシド間の結合、及び3番目と4番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、かつその他のヌクレオシド間の結合が全てホスホロチオエート結合である、請求項1又は2に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許

40

50

容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項 1 2】

アンチセンスオリゴヌクレオチドが、5'側から3'側にむかって、ヌクレオチド長5の5'ウイング領域、ヌクレオチド長10のギャップ領域、及びヌクレオチド長5の3'ウイング領域で構成されているギャップマーであり、前記ウイング領域の少なくとも1つのヌクレオシドが2'-O-MOE (2'-O-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>OCH<sub>3</sub>) 基が導入されたヌクレオシドであり、5'ウイング領域の5'側から2番目と3番目のヌクレオシド間の結合及び4番目と5番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、3'ウイング領域の5'側から1番目と2番目のヌクレオシド間の結合及び3番目と4番目のヌクレオシド間の結合がホスホジエステル結合であり、かつその他のヌクレオシド間の結合が全てホスホロチオエート結合である、請求項 1 又は 2 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

10

【請求項 1 3】

前記ウイング領域の全てのヌクレオシドが2'-O-MOE (2'-O-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>OCH<sub>3</sub>) 基が導入されたヌクレオシドである、請求項 1 0 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項 1 4】

前記ウイング領域の全てのヌクレオシドが2'-O-MOE (2'-O-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>OCH<sub>3</sub>) 基が導入されたヌクレオシドである、請求項 1 1 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

20

【請求項 1 5】

前記ウイング領域の全てのヌクレオシドが2'-O-MOE (2'-O-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>OCH<sub>3</sub>) 基が導入されたヌクレオシドである、請求項 1 2 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物。

【請求項 1 6】

請求項 1 又は 2 に記載のアンチセンスオリゴヌクレオチド又はその医薬的に許容可能な塩もしくはそれらの水和物を含む、医薬組成物。

【請求項 1 7】

歯状核赤核淡蒼球ルイ体萎縮症 (DRPLA) を治療及び / 又は予防するための、請求項 1 6 に記載の医薬組成物。

30

40

50