

【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27年7月9日 (2015.7.9)

【公表番号】特表2014-518875(P2014-518875A)

【公表日】平成26年8月7日 (2014.8.7)

【年通号数】公開・登録公報2014-042

【出願番号】特願2014-511695(P2014-511695)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/711 (2006.01)

A 6 1 K 47/36 (2006.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 31/713 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 P 3/10 (2006.01)

A 6 1 P 9/10 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/04 (2006.01)

A 6 1 P 5/50 (2006.01)

A 6 1 P 9/12 (2006.01)

A 6 1 P 3/04 (2006.01)

A 6 1 P 9/00 (2006.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 13/12 (2006.01)

A 6 1 P 25/02 (2006.01)

A 6 1 P 17/02 (2006.01)

A 6 1 P 19/04 (2006.01)

A 6 1 P 37/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/06 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 9/127 (2006.01)

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 31/711 Z N A

A 6 1 K 47/36

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/713

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 3/10

A 6 1 P 9/10 1 0 1

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 35/04

A 6 1 P 5/50

A 6 1 P 9/12

A 6 1 P 3/04

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P	25/00	
A 6 1 P	13/12	
A 6 1 P	25/02	1 0 3
A 6 1 P	17/02	
A 6 1 P	19/04	
A 6 1 P	37/00	
A 6 1 P	9/10	
A 6 1 P	3/06	
A 6 1 P	3/00	
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 K	9/127	
A 6 1 K	45/00	

【手続補正書】**【提出日】**平成27年5月20日(2015.5.20)**【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】**

インビボでの遺伝子の発現を阻害するための組成物であって、キトサン及び前記遺伝子に対するRNAi誘導性核酸配列を含み、前記キトサンは5 kDa ~ 200 kDaの分子量(Mn)、80% ~ 95%の脱アセチル化度(DDA)を有し、前記キトサンのアミンと前記核酸のリン酸との比率(N:P)は20未満である、組成物。

【請求項 2】

請求項1に記載の組成物であって、前記キトサンの分子量は5 ~ 15 kDa、DDAは90 ~ 95%、及びN:P比は2 ~ 10である、組成物。

【請求項 3】

請求項1又は2に記載の組成物であって、前記キトサンの分子量は10 kDa、DDAは92%、及びN:P比は5である、組成物。

【請求項 4】

請求項1に記載の組成物であって、前記キトサンの分子量は10 kDa、40 kDa、80 kDa、150 kDa、又は200 kDaである、組成物。

【請求項 5】

請求項1 ~ 4のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記キトサンはアセチル基のブロック分布又は化学修飾を含む、組成物。

【請求項 6】

請求項1 ~ 5のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記キトサンは1.0 ~ 7.0の間の多分散性を有する、組成物。

【請求項 7】

請求項1 ~ 6のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記RNAi誘導性核酸配列は、ヌクレオチドが10 ~ 50個の間の二本鎖線状デオキシリボ核酸又はリボ核酸の配列である、組成物。

【請求項 8】

請求項1 ~ 7のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記RNAi誘導性核酸配列は、デオキシリボ核酸又はリボ核酸の配列のヘアピン構造である、組成物。

【請求項 9】

請求項 1 ~ 8 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列は、糖骨格、リン酸骨格、及び / 又はヌクレオチド塩基環のいずれかにおいて化学的に修飾されている、組成物。

【請求項 10】

請求項 1 ~ 9 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列は、低分子干渉 RNA、低分子ヘアピン RNA、又は RNA i 誘導ベクターである、組成物。

【請求項 11】

請求項 1 ~ 10 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列は、II 型糖尿病、アテローム性動脈硬化症、又は癌の病因に關与する遺伝子を標的とする、組成物。

【請求項 12】

請求項 1 ~ 10 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列は、腫瘍の発生、転移、又は化学療法抵抗性の誘導に關与する遺伝子を標的とする、組成物。

【請求項 13】

請求項 1 ~ 11 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列は糖調節タンパク質を標的とする、組成物。

【請求項 14】

請求項 13 に記載の組成物であって、前記糖調節タンパク質はインクレチン分解酵素である、組成物。

【請求項 15】

請求項 13 に記載の組成物であって、前記インクレチン分解酵素はジペプチジルペプチダーゼ IV (DPP IV) である、組成物。

【請求項 16】

請求項 1 ~ 11 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列はアテローム生成タンパク質を標的とする、組成物。

【請求項 17】

請求項 16 に記載の組成物であって、前記アテローム生成タンパク質は、アポリポタンパク質 B (ApoB)、アポリポタンパク質 E (ApoE)、アポリポタンパク質 B100 (ApoB100)、アポリポタンパク質 B48 (ApoB48)、好中球ゼラチナーゼ関連リポカリン (NGAL)、マトリックスメタロプロテアーゼ 9 (MMP 9)、又はコレステロールエステル転送タンパク質 (CETP) である、組成物。

【請求項 18】

請求項 1 ~ 12 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列は、ヘリカーゼタンパク質、RNA ヘリカーゼ、P68、DDX5、DDX32、DDX1、Akt、PKB、ABC 輸送体のメンバー、MDR1、MRP、RAS タンパク質ファミリーのメンバー、SRC、HER2、EGFR、Ab1、又は Raf を標的とする、組成物。

【請求項 19】

請求項 18 に記載の組成物であって、前記ヘリカーゼタンパク質は RecQ ヘリカーゼファミリーのメンバーである、組成物。

【請求項 20】

請求項 18 又は 19 に記載の組成物であって、前記ヘリカーゼタンパク質は RecQL1 DNA ヘリカーゼである、組成物。

【請求項 21】

請求項 18 に記載の組成物であって、前記 RNA i 誘導性核酸配列は MDR1 を標的とする、組成物。

【請求項 22】

患者における糖尿病及びその関連状態、アテローム性動脈硬化症及びその関連状態、又

は癌及びその関連状態を治療するための、請求項 1 ~ 2 1 のうちいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 2 3】

請求項 2 2 に記載の組成物であって、好適な送達剤のうちの少なくとも 1 つ及び抗癌化合物との同時投与のために製剤化される、組成物。

【請求項 2 4】

請求項 2 3 に記載の組成物であって、前記好適な送達剤は、Mirus Transit TKO (登録商標) 親油性試薬、Lipofectin (登録商標)、Lipofectamine (登録商標)、Cellfectin (登録商標)、ポリカチオン、又はリポソームである、組成物。

【請求項 2 5】

請求項 2 2 ~ 2 4 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、好適な抗癌療法の間の同時投与のために製剤化される、組成物。

【請求項 2 6】

請求項 1 ~ 2 5 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記組成物は 1 m g / k g の用量での注射用に製剤化される、組成物。

【請求項 2 7】

請求項 1 ~ 2 6 のうちいずれか一項に記載の組成物であって、前記組成物は投与したときに肝臓毒性を誘発しない、組成物。

【請求項 2 8】

キトサンとRNA i 誘導性核酸配列とを酸性媒体中で混合することを含む、糖尿病、アテローム性動脈硬化症、又は癌を治療するための組成物を製造する方法であって、前記キトサンは、5 k D a ~ 2 0 0 k D a の分子量 (M n)、8 0 % ~ 9 5 % の脱アセチル化度 (D D A) を有し、前記キトサンのアミンと核酸のリン酸との比率 (N : P) は 2 0 未満である、方法。