

【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26年7月10日(2014.7.10)

【公表番号】特表2013-534908(P2013-534908A)

【公表日】平成25年9月9日(2013.9.9)

【年通号数】公開・登録公報2013-049

【出願番号】特願2013-511636(P2013-511636)

【国際特許分類】

A 6 1 K	45/00	(2006.01)
C 1 2 Q	1/68	(2006.01)
A 6 1 K	45/06	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	19/08	(2006.01)
A 6 1 P	19/10	(2006.01)
A 6 1 P	9/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/10	(2006.01)
A 6 1 P	9/12	(2006.01)
A 6 1 P	7/02	(2006.01)
A 6 1 P	25/28	(2006.01)
A 6 1 P	9/04	(2006.01)
A 6 1 P	13/12	(2006.01)
A 6 1 K	31/711	(2006.01)
A 6 1 K	31/713	(2006.01)
G 0 1 N	33/53	(2006.01)
C 1 2 N	15/113	(2010.01)

【F I】

A 6 1 K	45/00	Z N A
C 1 2 Q	1/68	A
A 6 1 K	45/06	
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 P	19/08	
A 6 1 P	19/10	
A 6 1 P	9/00	
A 6 1 P	9/10	
A 6 1 P	9/12	
A 6 1 P	7/02	
A 6 1 P	9/10	1 0 3
A 6 1 P	25/28	
A 6 1 P	9/04	
A 6 1 P	13/12	
A 6 1 K	31/711	
A 6 1 K	31/713	
G 0 1 N	33/53	N
C 1 2 N	15/00	G

【手続補正書】

【提出日】平成26年5月19日(2014.5.19)

【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】

(a) ポリヌクレオチドの拮抗剤／阻害剤であって、該ポリヌクレオチドは F Z D 3 又はその生物学的に活性な誘導体の発現を低下又は抑制することが可能である、ポリヌクレオチドの拮抗剤／阻害剤、及び／又は

(b) m i R - 3 1 又はその 5' 若しくは 3' イソ型若しくは変異型の拮抗剤／阻害剤を含む、対象の骨障害及び／又は心血管障害を治療又は予防するための組成物。

【請求項2】

前記拮抗される／阻害されるポリヌクレオチドが、F Z D 3 又は生物学的に活性なその誘導体の m R N A にハイブリダイズすることが可能な、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記拮抗される／阻害されるポリヌクレオチドが、マイクロ R N A 、 s i R N A 、模倣マイクロ R N A 、長鎖非コード R N A 、 s n R N A 、 s t R N A 、 f R N A 、 s n R N A 、 s n o R N A 、 p i R N A 、 t a s i R N A 、 a R N A 及びそれらのポリヌクレオチドの前駆体からなる群より選択される、請求項1若しくは 2 に記載の組成物。

【請求項4】

前記拮抗される／阻害されるポリヌクレオチドの長さが、約 1 5 ~ 約 1 0 0 、好ましくは約 1 8 ~ 約 2 7 ヌクレオチド、また最も好ましくは 2 0 ~ 2 4 ヌクレオチドである、請求項1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項5】

前記拮抗される／阻害されるポリヌクレオチド又は前記 m i R - 3 1 又はその 5' 若しくは 3' イソ型若しくは変異型が、

(a) 配列番号 1 のヌクレオチド配列を含むポリヌクレオチド、

(b) (a) のポリヌクレオチドと少なくとも 8 0 % 同一なポリヌクレオチド、

(c) 配列番号 2 のヌクレオチド配列を含むポリヌクレオチド、及び

(d) 配列番号 2 のヌクレオチド配列を含む (b) のポリヌクレオチド

からなる群より選択される、請求項1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項6】

前記組成物が、ポリヌクレオチド (a) ~ (d) のいずれか 1 種、 2 種、又は 3 種以上に対する阻害剤を 1 種、 2 種、又は 3 種以上含む、請求項5に記載の組成物。

【請求項7】

前記拮抗される／阻害されるポリヌクレオチドが F Z D 3 又はその生物学的に活性な誘導体の m R N A の 3' - U T R にハイブリダイズする、請求項1 ~ 6 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項8】

前記拮抗される／阻害されるポリヌクレオチドが m i R - 3 1 又はその 5' 若しくは 3' イソ型若しくは変異型である、請求項1 ~ 7 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項9】

前記組成物が体重 1 k g 当たり約 1 n g ~ 約 1 0 m g の前記拮抗剤／阻害剤を含む、請求項1 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項10】

請求項1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載の組成物であって、

F Z D 3 又はその生物学的に活性な誘導体の発現を低下又は抑制することが可能な、前記ポリヌクレオチドの拮抗剤／阻害剤、及び／又は

前記 m i R - 3 1 又はその 5' 若しくは 3' イソ型若しくは変異型の拮抗剤／阻害剤が、脂質組成、エキソソーム又はリポソーム中に含まれている、前記組成物。

【請求項11】

前記組成物が薬学上許容可能な担体をさらに含む、請求項1～10のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項12】

前記組成物を、注入、吸入、経口、直腸、経膣、局所及び／又は局部投与用に調製する、請求項1～11のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項13】

前記拮抗剤／阻害剤がm i R - 3 1又はその5'若しくは3'イソ型若しくは変異型にハイブリダイズすることが可能な、請求項1～12のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項14】

前記拮抗剤／阻害剤が、アンタゴm i R、miRCURY LNA(商標)マイクロRNA阻害剤、インビボLNA(商標)m i R阻害剤、tiny LNA、又はm i R - デコイ若しくはm i R - スポンジからなる群より選択される、請求項1～13のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項15】

前記アンタゴm i R、miRCURY LNA(商標)マイクロRNA阻害剤、インビボLNA(商標)m i R阻害剤、tiny LNA、又はm i R - デコイ若しくはm i R - スポンジが、(a)配列番号5の核酸配列又は配列番号5を含む核酸配列、(b)配列番号6の核酸配列又は配列番号6を含む核酸配列、(c)配列番号7の核酸配列又は配列番号7を含む核酸配列、(d)配列番号8の核酸配列又は配列番号8を含む核酸配列、及び(e)(a)～(d)のいずれか1種の核酸配列とすくなくとも90%同一の核酸配列、からなる群より選択される核酸分子又は核酸配列を含む、請求項14に記載の組成物。

【請求項16】

(a) F Z D 3又はその生物学的に活性な誘導体の発現を低下又は抑制することが可能なポリヌクレオチドと特異的に相互作用することが可能な薬剤、及び／又は(b) F Z D 3又はその生物学的に活性な誘導体の発現を低下又は抑制することが可能なポリヌクレオチドとハイブリダイズする核酸分子を含み、

対象の骨障害及び／又は心血管障害の診断又は骨障害及び／又は心血管障害の治療成功的生体内での監視に使用する組成物。

【請求項17】

対象の骨障害及び／又は心血管障害を診断を補助する方法であって、(a)前記対象の生体試料を、F Z D 3の発現を低下又は抑制することが可能なポリヌクレオチドにハイブリダイズする核酸分子及び／又はm i R - 3 1又はその5'若しくは3'イソ型若しくは変異型にハイブリダイズする核酸分子と接触させる工程、又は前記生体試料を、F Z D 3の発現を低下又は抑制することが可能な前記ポリヌクレオチドと結合する薬剤及び／又はm i R - 3 1又はその5'若しくは3'イソ型若しくは変異型と結合する薬剤に接触させる工程、(b)(a)の該核酸分子の該ハイブリダイゼーションシグナルを検出・評価するか、又は、(a)の該薬剤と前記ポリヌクレオチド及び／又は前記m i R - 3 1又はその5'若しくは3'イソ型若しくは変異型との該結合シグナルを検出・評価する工程、及び(c)(b)の該検出・評価されたハイブリダイゼーションシグナルを比較するか、又は、(b)の該検出・評価された該結合シグナルを対照試料中の対応する検出・評価されたハイブリダイゼーションシグナル又は結合シグナルと比較する工程を含み、前記対照試料のハイブリダイゼーションシグナル又は結合シグナルよりも、該対象の該試料中のハイブリダイゼーションシグナル又は結合シグナルが強いことが、骨障害及び／又は心血管障害を発症する又は患っている可能性の指標となる、前記方法。

【請求項18】

対象の骨障害及び／又は心血管障害を診断を補助する方法であって、(a)PCR法により、生体試験試料中のm i R - 3 1(又はそのイソ型若しくは変異型の)の該発現レベル及び／又は量を検出する工程、及び(b)前記生体試料中の前記m i R - 3 1(又は前記イソ型及び変異型)の該検出された

発現レベル及び／又は量を、対照試料中の対応する前記m i R - 3 1の発現レベル及び／又は量と比較する工程を含む、前記方法。

【請求項 19】

前記ハイブリダイズする核酸分子又は前記結合剤が、マーカー分子及び／又はタグ付け分子と結合されている、請求項1 6に記載の組成物又は請求項1 7に記載の方法。

【請求項 20】

前記使用される薬剤が特定のタンパク質又はタンパク質断片である、請求項1 6若しくは1 9に記載の組成物又は請求項1 7若しくは1 9に記載の方法。

【請求項 21】

前記特定のタンパク質又はタンパク質断片が、抗体若しくはその断片、又は、F Z D 3の発現を低下又は抑制することが可能なポリヌクレオチドと結合及び／又は相互作用することが可能な、及び／又はm i R - 3 1又はその5'若しくは3'イソ型若しくは変異型と結合及び／又は相互作用することが可能な、修飾された転写因子である、請求項2 0に記載の組成物又は方法。

【請求項 22】

前記骨障害が、骨粗鬆症、骨減少症、骨折、及び骨恒常性の不全からなる群より選択され、前記心血管障害が、心血管疾患、発作、梗塞、高血圧、血栓症、血管狭窄症、冠不全症候群、血管性認知症、心不全、腎不全、ストレス性心血管障害及びアテローム性動脈硬化症からなる群より選択される、請求項1～1 6若しくは1 9～2 1のいずれか1項に記載の組成物又は請求項1 7～2 1のいずれか1項に記載の方法。