

【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5月14日(2024.5.14)

【公開番号】特開2024-23235(P2024-23235A)

【公開日】令和6年2月21日(2024.2.21)

【年通号数】公開公報(特許)2024-033

【出願番号】特願2023-189307(P2023-189307)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/113(2010.01)

10

【F I】

C 1 2 N 15/113 Z Z N A

【手続補正書】

【提出日】令和6年5月2日(2024.5.2)

【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】

20

【特許請求の範囲】

【請求項1】

修飾されたオリゴヌクレオチド、を含む一本鎖のオリゴマー化合物であって、
前記修飾されたオリゴヌクレオチドは、16 - 30結合ヌクレオシドからなり、そして、
配列番号1113に記載の配列からなる核酸塩基配列を有し、

前記修飾されたオリゴヌクレオチドは、修飾された糖部分、および/または、修飾されたヌクレオシド間結合を含む修飾されたヌクレオシドを含み、

前記修飾されたオリゴヌクレオチドが：

結合された2' - デオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；

結合されたヌクレオシドからなる5' ウイングセグメント；および

結合されたヌクレオシドからなる3' ウイングセグメント、を有し、

30

前記ギャップセグメントが、前記5' ウイングセグメントと前記3' ウイングセグメントとの間に配置され、各ウイングセグメントの各ヌクレオシドが、修飾された糖を含み、
そして、

前記オリゴマー化合物は、 - E N a C 発現を低減することができる、

前記オリゴマー化合物。

【請求項2】

前記修飾オリゴヌクレオチドが、16 - 20結合ヌクレオシド、17 - 30結合ヌクレオシド、または、18 - 22結合ヌクレオシドからなる、請求項1に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

40

【請求項3】

前記修飾されたオリゴヌクレオチドが、

10個の結合された2' - デオキシヌクレオシドからなるギャップセグメント；

3個の結合されたヌクレオシドからなる5' ウイングセグメント；および

3個の結合されたヌクレオシドからなる3' ウイングセグメントと、を含み、

前記ギャップセグメントが、前記5' ウイングセグメントと前記3' ウイングセグメントとの間に配置され、そして、

各ウイングセグメントの各ヌクレオシドが、c E t 糖部分を含む、

請求項1に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

【請求項4】

50

前記修飾されたオリゴヌクレオチドが、少なくとも1つの二環式糖を含む、請求項1または請求項2に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

【請求項5】

前記修飾されたオリゴヌクレオチドが、少なくとも1つのヌクレオシド間結合を含む、請求項1～4のいずれか1項に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

【請求項6】

前記少なくとも1つのヌクレオシド間結合が、ホスホロチオエートヌクレオシド間結合である、請求項5に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

【請求項7】

各ヌクレオシド間結合が、ホスホロチオエートヌクレオシド間結合である、請求項5に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。 10

【請求項8】

前記核酸塩基配列の各シトシンが、5-メチルシトシンである、請求項1～7のいずれか1項に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

【請求項9】

複合群を含む、請求項1～8のいずれか1項に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

【請求項10】

前記オリゴマー化合物が、前記修飾されたオリゴヌクレオチドおよび前記複合群からなる、請求項9に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。

【請求項11】

前記オリゴマー化合物が、前記修飾されたオリゴヌクレオチドからなる、請求項1～8のいずれか1項に記載の一本鎖のオリゴマー化合物。 20

【請求項12】

請求項1～10のいずれか1項に記載の一本鎖のオリゴマー化合物、および少なくとも1つの薬学的に許容される担体または希釈剤を含む、薬学的組成物。

【請求項13】

前記薬学的に許容される希釈剤が、リン酸緩衝食塩水である、請求項12に記載の薬学的組成物。

【請求項14】

本質的に前記オリゴマー化合物、および、リン酸緩衝食塩水からなる、請求項13に記載の薬学的組成物。 30

【請求項15】

- E N a Cに関連する疾患を治療、予防、または改善するための医薬品の製造における、請求項1～11のいずれか1項に記載の一本鎖のオリゴマー化合物、または、請求項12～14のいずれか1項に記載の薬学的組成物の使用。

【請求項16】

嚢胞性線維症、C O P D、喘息、または、慢性気管支炎を治療、予防、または改善するための医薬品の製造における、請求項1～11のいずれか1項に記載の一本鎖のオリゴマー化合物、または、請求項12～14のいずれか1項に記載の薬学的組成物の使用。

【請求項17】

前記一本鎖のオリゴマー化合物または前記薬学的組成物が、組み合わせて使用される、請求項15または16に記載の使用。 40

【請求項18】

前記少なくとも1つの二次薬剤が、テザカフトールおよびアイバカフトールから選択される、請求項17に記載の使用。