

(12) 특허협력조약에 의하여 공개된 국제출원

(19) 세계지식재산권기구  
국제사무국

(43) 국제공개일  
2012년 3월 22일 (22.03.2012)



(10) 국제공개번호  
WO 2012/036433 A3

- (51) 국제특허분류:  
A61K 38/16 (2006.01) A61K 31/711 (2006.01)  
A61K 31/7105 (2006.01) A61P 25/28 (2006.01)
- (21) 국제출원번호: PCT/KR2011/006718
- (22) 국제출원일: 2011년 9월 9일 (09.09.2011)
- (25) 출원언어: 한국어
- (26) 공개언어: 한국어
- (30) 우선권정보:  
10-2010-0089651 2010년 9월 13일 (13.09.2010) KR
- (71) 출원인 (US 을(를) 제외한 모든 지정국에 대하여): 서울대학교 산학협력단 (SNU R&DB FOUNDATION) [KR/KR]; 서울특별시 관악구 낙성대동 서울대학교 연구공원단지본관 111 호, 151-919 Seoul (KR).
- (72) 발명자; 겸
- (75) 발명자/출원인 (US 에 한하여): 노재규 (ROH, Jae-Kyu) [KR/KR]; 서울특별시 영등포구 여의도동 55-1 대우 트럼프월드타워 A 동 1301 호, 150-010 Seoul (KR). 이상건 (LEE, Sang Kun) [KR/KR]; 서울특별시 서초구 서초동 아크로비스타 E 동 3203 호, 137-070 Seoul (KR). 김만호 (KIM, Man Ho) [KR/KR]; 서울특별시 강남구 개포 4 동 현대 2차아파트 208 동 503 호, 135-244 Seoul (KR). 주건 (CHU, Kon) [KR/KR]; 서울특별시 송

파구 문정 2 동 올림픽체밀리아파트 302 동 401 호, 138-202 Seoul (KR). 정근화 (JUNG, Keun-Hwa) [KR/KR]; 서울특별시 종로구 내수동 77-1 경희궁의 아침 3 단지 아파트 1501 호, 110-070 Seoul (KR). 이순태 (LEE, Soon-Tae) [KR/KR]; 서울특별시 용산구 한강로 1 가 64 번지 대우월드마크 101 동 1101 호, 140-011 Seoul (KR).

(74) 대리인: 양부현 (YANG, Boo-Hyun); 서울특별시 관악구 인현동 1659-2 청동빌딩 301 호, 151-832 Seoul (KR).

(81) 지정국 (별도의 표시가 없는 한, 가능한 모든 종류의 국내 권리의 보호를 위하여): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG, KM, KN, KP, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SM, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, ZA, ZM, ZW.

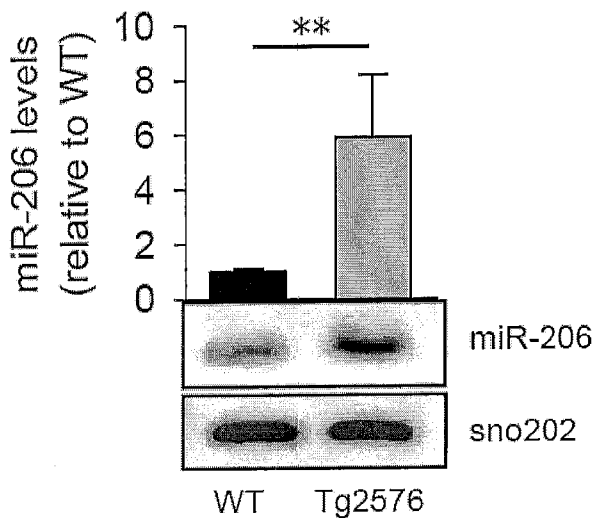
(84) 지정국 (별도의 표시가 없는 한, 가능한 모든 종류의 역내 권리의 보호를 위하여): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), 유라시아 (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ,

[다음 쪽 계속]

(54) Title: TREATMENT OF NEURODEGENERATIVE DISEASES BY TARGETING MIRNA

(54) 발명의 명칭 : miRNA 를 타겟으로 한 신경퇴행성 질환 치료

Fig. 1b



(57) Abstract: The present invention relates to a pharmaceutical composition for preventing or treating neurodegenerative diseases by targeting a specific miRNA. In addition, the present invention relates to a kit for diagnosing neurodegenerative diseases. A miR-206 target found in the present invention, which is highly expressed in both animal models of Alzheimer's disease and human brain samples, is a substantial treatment target selected without artifact errors. An antisense oligonucleotide of the present invention as an inhibitor for miR-206 suggests a successful result in treatment of neurodegenerative diseases by targeting miRNA. The antisense oligonucleotide of the present invention inhibits the function of miR-206 to greatly increase the levels of BDNF and IGF-1 and to increase the regeneration of synapses, thereby treating neurodegenerative diseases, particularly Alzheimer's disease.

(57) 요약서: 본 발명은 특정 miRNA 를 타겟으로 한 신경퇴행성 질환의 예방 또는 치료용 약제학적 조성물에 관한 것이다. 또한, 본 발명은 신경퇴행성 질환의 진단용 키트에 관한 것이다. 본 발명에서 발굴된 miR-206 타겟은 알츠하이머 동물 모델 및 인간 뇌 시료에서 공통적으로 고발현 된 것으로서 실험적 오차 (artifact errors) 없이 선택된 실질적인 치료 타겟이다. miR-206 의 억제제로서 본 발명의 안티센스 올리고뉴클레오타이드는 miRNA 를 타겟으로 한 신경퇴행성 질환 치료에 있어서 최초로 성공적인 결과를 제시한다. 본 발명의 안티센스

올리고뉴클레오타이드는 miR-206 의 기능을 억제하여 BDNF 및 IGF-1 의 레벨을 크게 증가시키며 시냅스 재생을 증가시켜 결국 신경퇴행성 질환 특히 알츠하이머 질환을 치료한다.

WO 2012/036433 A3



TM), 유럽 (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

— 청구범위 보정 기한 만료 전의 공개이며, 보정서를 접수하는 경우 그에 관하여 별도 공개함 (규칙 48.2(h))

— 명세서의 서열목록 부분과 함께 (규칙 5.2(a))

**공개:**

**(88) 국제조사보고서 공개일:** 2012년 6월 28일

— 국제조사보고서와 함께 (조약 제 21 조(3))

## INTERNATIONAL SEARCH REPORT

International application No.

**PCT/KR2011/006718**

## A. CLASSIFICATION OF SUBJECT MATTER

**A61K 38/16(2006.01)i, A61K 31/7105(2006.01)i, A61K 31/711(2006.01)i, A61P 25/28(2006.01)i**

According to International Patent Classification (IPC) or to both national classification and IPC

## B. FIELDS SEARCHED

Minimum documentation searched (classification system followed by classification symbols)

A61K 38/16; A61K 31/70; A61K 39/395; A61K 49/00; A61K 38/02; C12Q 1/68; A01H 1/00

Documentation searched other than minimum documentation to the extent that such documents are included in the fields searched  
Korean Utility models and applications for Utility models: IPC as above  
Japanese Utility models and applications for Utility models: IPC as above

Electronic data base consulted during the international search (name of data base and, where practicable, search terms used)

eKOMPASS (KIPO internal), PubMed, Google

## C. DOCUMENTS CONSIDERED TO BE RELEVANT

Category*	Citation of document, with indication, where appropriate, of the relevant passages	Relevant to claim No.
X	US 2009-0246136 A1 (ANDREW WILLIAMS et al.) 01 October 2009 See abstract; paragraph [0093]; claims.	1-10
A	US 2008-0313773 A1 (CHUA, NAM HAI et al.) 18 December 2008 abstract; claims.	1-10
A	US 2008-0279846 A1 (SHI YI et al.) 13 November 2008 See claims.	1-10

 Further documents are listed in the continuation of Box C. See patent family annex.

\* Special categories of cited documents:

"A" document defining the general state of the art which is not considered to be of particular relevance

"E" earlier application or patent but published on or after the international filing date

"L" document which may throw doubts on priority claim(s) or which is cited to establish the publication date of another citation or other special reason (as specified)

"O" document referring to an oral disclosure, use, exhibition or other means

"P" document published prior to the international filing date but later than the priority date claimed

"I" later document published after the international filing date or priority date and not in conflict with the application but cited to understand the principle or theory underlying the invention

"X" document of particular relevance; the claimed invention cannot be considered novel or cannot be considered to involve an inventive step when the document is taken alone

"Y" document of particular relevance; the claimed invention cannot be considered to involve an inventive step when the document is combined with one or more other such documents, such combination being obvious to a person skilled in the art

"&amp;" document member of the same patent family

Date of the actual completion of the international search

30 APRIL 2012 (30.04.2012)

Date of mailing of the international search report

**01 MAY 2012 (01.05.2012)**

Name and mailing address of the ISA/KR

Korean Intellectual Property Office  
Government Complex-Daejeon, 139 Seonsa-ro, Daejeon 302-701,  
Republic of Korea

Facsimile No. 82-42-472-7140

Authorized officer

Telephone No.

## INTERNATIONAL SEARCH REPORT

International application No.

**PCT/KR2011/006718****Box No. II Observations where certain claims were found unsearchable (Continuation of item 2 of first sheet)**

This international search report has not been established in respect of certain claims under Article 17(2)(a) for the following reasons:

1.  Claims Nos.: **11-17**  
because they relate to subject matter not required to be searched by this Authority, namely:  
Claims 11-17 pertain to a method for treatment of the human body, and thus pertain to subject matter on which the International Searching Authority is not required to carry out an international search under the provisions of PCT Article 17 (2)(a)(i) and PCT Rule 39.1(iv).
2.  Claims Nos.:  
because they relate to parts of the international application that do not comply with the prescribed requirements to such an extent that no meaningful international search can be carried out, specifically:
3.  Claims Nos.:  
because they are dependent claims and are not drafted in accordance with the second and third sentences of Rule 6.4(a).

**Box No. III Observations where unity of invention is lacking (Continuation of item 3 of first sheet)**

This International Searching Authority found multiple inventions in this international application, as follows:

1.  As all required additional search fees were timely paid by the applicant, this international search report covers all searchable claims.
2.  As all searchable claims could be searched without effort justifying additional fees, this Authority did not invite payment of additional fees.
3.  As only some of the required additional search fees were timely paid by the applicant, this international search report covers only those claims for which fees were paid, specifically claims Nos.:
4.  No required additional search fees were timely paid by the applicant. Consequently, this international search report is restricted to the invention first mentioned in the claims; it is covered by claims Nos.:

**Remark on Protest**

- The additional search fees were accompanied by the applicant's protest and, where applicable, the payment of a protest fee.
- The additional search fees were accompanied by the applicant's protest but the applicable protest fee was not paid within the time limit specified in the invitation.
- No protest accompanied the payment of additional search fees.

**INTERNATIONAL SEARCH REPORT**  
Information on patent family members

International application No.

**PCT/KR2011/006718**

Patent document cited in search report	Publication date	Patent family member	Publication date
US 2009-0246136 A1	01.10.2009	CA 2718520 A1 CN 102036689 A EP 2265291 A2 JP 2011-515407 A WO 2009-117418 A2 WO 2009-117418 A3	24.09.2009 27.04.2011 29.12.2010 19.05.2011 24.09.2009 24.09.2009
US 2008-0313773 A1	18.12.2008	WO 2008-143786 A1	27.11.2008
US 2008-0279846 A1	13.11.2008	NONE	

**A. 발명이 속하는 기술분류(국제특허분류(IPC))**  
*A61K 38/16(2006.01)i, A61K 31/7105(2006.01)i, A61K 31/711(2006.01)i, A61P 25/28(2006.01)i*

**B. 조사된 분야**

조사된 최소문헌(국제특허분류를 기재)  
A61K 38/16; A61K 31/70; A61K 39/395; A61K 49/00; A61K 38/02; C12Q 1/68; A01H 1/00

조사된 기술분야에 속하는 최소문헌 이외의 문헌  
한국등록실용신안공보 및 한국공개실용신안공보: 조사된 최소문헌란에 기재된 IPC  
일본등록실용신안공보 및 일본공개실용신안공보: 조사된 최소문헌란에 기재된 IPC

국제조사에 이용된 전산 데이터베이스(데이터베이스의 명칭 및 검색어(해당하는 경우))  
eKOMPASS(특허청 내부 검색시스템), PubMed, Google

**C. 관련 문헌**

카테고리*	인용문헌명 및 관련 구절(해당하는 경우)의 기재	관련 청구항
X	US 2009-0246136 A1 (ANDREW WILLIAMS 외 1명) 2009.10.01 See abstract; paragraph [0093]; claims.	1-10
A	US 2008-0313773 A1 (NAM-HAI CHUA 외 1명) 2008.12.18 abstract; claims.	1-10
A	US 2008-0279846 A1 (SHI YI 외 1명) 2008.11.13 See claims.	1-10

추가 문헌이 C(계속)에 기재되어 있습니다.  대응특허에 관한 별지를 참조하십시오.

\* 인용된 문헌의 특별 카테고리:  
 “A” 특별히 관련이 없는 것으로 보이는 일반적인 기술수준을 정의한 문헌  
 “E” 국제출원일보다 빠른 출원일 또는 우선일을 가지나 국제출원일 이후에 공개된 선출원 또는 특허 문헌  
 “L” 우선권 주장에 의문을 제기하는 문헌 또는 다른 인용문헌의 공개일 또는 다른 특별한 이유(이유를 명시)를 밝히기 위하여 인용된 문헌  
 “O” 구두 개시, 사용, 전시 또는 기타 수단을 언급하고 있는 문헌  
 “P” 우선일 이후에 공개되었으나 국제출원일 이전에 공개된 문헌  
 “T” 국제출원일 또는 우선일 후에 공개된 문헌으로, 출원과 상충하지 않으며 발명의 기초가 되는 원리나 이론을 이해하기 위해 인용된 문헌  
 “X” 특별한 관련이 있는 문헌. 해당 문헌 하나만으로 청구된 발명의 신규성 또는 진보성이 없는 것으로 본다.  
 “Y” 특별한 관련이 있는 문헌. 해당 문헌이 하나 이상의 다른 문헌과 조합하는 경우로 그 조합이 당업자에게 자명한 경우 청구된 발명은 진보성이 없는 것으로 본다.  
 “&” 동일한 대응특허문헌에 속하는 문헌

국제조사의 실제 완료일 2012년 04월 30일 (30.04.2012)	국제조사보고서 발송일 <b>2012년 05월 01일 (01.05.2012)</b>
--	--

ISA/KR의 명칭 및 우편주소 대한민국 특허청 (302-701) 대전광역시 서구 청사로 189, 정부대전청사 팩스 번호 82-42-472-7140	심사관 박정웅 전화번호 82-42-481-8131
--	-----------------------------------



제2기재란 일부 청구항을 조사할 수 없는 경우의 의견(첫 번째 용지의 2의 계속)

PCT 제17조(2)(a)의 규정에 따라 다음과 같은 이유로 일부 청구항에 대하여 본 국제조사보고서가 작성되지 아니하였습니다.

- 1.  청구항: 11-17  
이 청구항은 본 기관이 조사할 필요가 없는 대상에 관련됩니다. 즉, 청구항 제11항 내지 제17항은 사람의 치료방법에 관한 것이므로, PCT 제17조(2)(a)(i) 및 PCT 규칙 39.1(iv)의 규정에 의하여 국제조사기관이 국제 조사할 의무가 없는 대상에 해당합니다.
- 2.  청구항:  
이 청구항은 유효한 국제조사를 수행할 수 없을 정도로 소정의 요건을 충족하지 아니하는 국제출원의 부분과 관련됩니다. 구체적으로는,
- 3.  청구항:  
이 청구항은 종속청구항이나 PCT규칙 6.4(a)의 두 번째 및 세 번째 문장의 규정에 따라 작성되어 있지 않습니다.

제3기재란 발명의 단일성이 결여된 경우의 의견(첫 번째 용지의 3의 계속)

본 국제조사기관은 본 국제출원에 다음과 같이 다수의 발명이 있다고 봅니다.

- 1.  출원인이 모든 추가수수료를 기간 내에 납부하였으므로, 본 국제조사보고서는 모든 조사 가능한 청구항을 대상으로 합니다.
- 2.  추가수수료 납부를 요구하지 않고도 모든 조사 가능한 청구항을 조사할 수 있었으므로, 본 기관은 추가수수료 납부를 요구하지 아니하였습니다.
- 3.  출원인이 추가수수료의 일부만을 기간 내에 납부하였으므로, 본 국제조사보고서는 수수료가 납부된 청구항만을 대상으로 합니다. 구체적인 청구항은 아래와 같습니다.
- 4.  출원인이 기간 내에 추가수수료를 납부하지 아니하였습니다. 따라서 본 국제조사보고서는 청구범위에 처음 기재된 발명에 한정되어 있으며, 해당 청구항은 아래와 같습니다.

이의신청에  
관한 기재

- 출원인의 이의신청 및 이의신청료 납부(해당하는 경우)와 함께 추가수수료가 납부되었습니다.
- 출원인의 이의신청과 함께 추가수수료가 납부되었으나 이의신청료가 보정요구서에 명시된 기간 내에 납부되지 아니하였습니다.
- 이의신청 없이 추가수수료가 납부되었습니다.

국제조사보고서에서 인용된 특허문헌	공개일	대응특허문헌	공개일
US 2009-0246136 A1	2009. 10. 01	CA 2718520 A1 CN 102036689 A EP 2265291 A2 JP 2011-515407 A WO 2009-117418 A2 WO 2009-117418 A3	2009. 09. 24 2011. 04. 27 2010. 12. 29 2011. 05. 19 2009. 09. 24 2009. 09. 24
US 2008-0313773 A1	2008. 12. 18	WO 2008-143786 A1	2008. 11. 27
US 2008-0279846 A1	2008. 11. 13	없음	