

(12) 特許協力条約に基づいて公開された国際出願

(19) 世界知的所有権機関
国際事務局

(43) 国際公開日
2021年7月1日(01.07.2021)



(10) 国際公開番号

WO 2021/132591 A1

(51) 国際特許分類:

C12N 15/113 (2010.01) A61P 21/04 (2006.01)
A61K 31/7088 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2020/048803

(22) 国際出願日: 2020年12月25日(25.12.2020)

(25) 国際出願の言語: 日本語

(26) 国際公開の言語: 日本語

(30) 優先権データ:

特願 2019-236704 2019年12月26日(26.12.2019) JP

(71) 出願人: 日本新薬株式会社(NIPPON SHINYAKU CO., LTD.) [JP/JP]; 〒6018550 京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町1-4番地 Kyoto (JP). 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター (NATIONAL CENTER OF NEUROLOGY AND PSYCHIATRY) [JP/JP]; 〒1878551 東京都小平市小川東町4丁目1番1号 Tokyo (JP).

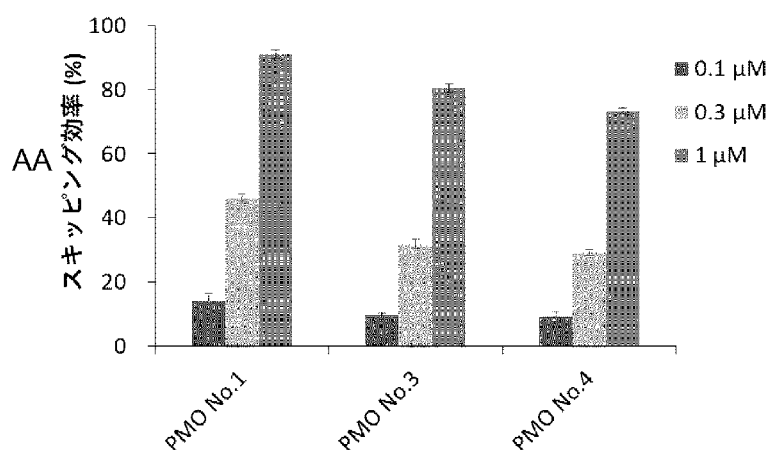
(72) 発明者: 塩谷 由輝子(ENYA Yukiko); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1-4-1 日本新薬

株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 砂土居 裕太(SUNADOI Yuta); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1-4-1 日本新薬株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 脇 玲子(WAKI Reiko); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1-4-1 日本新薬株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 鞭馬 奏萌(MUCHIMA Kaname); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1-4-1 日本新薬株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 武田 伸一(TAKEDA Shin'ichi); 〒1878551 東京都小平市小川東町4丁目1番1号 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター内 Tokyo (JP). 青木 吉嗣(AOKI Yoshitsugu); 〒1878551 東京都小平市小川東町4丁目1番1号 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター内 Tokyo (JP).

(74) 代理人: 小林 浩, 外 (KOBAYASHI Hiroshi et al.); 〒1040028 東京都中央区八重洲二丁目8番7号 福岡ビル9階 阿部・井窪・片山法律事務所 Tokyo (JP).

(54) Title: ANTISENSE NUCLEIC ACID THAT INDUCES SKIPPING OF EXON 50

(54) 発明の名称: エクソン50のスキッピングを誘導するアンチセンス核酸



AA Skipping efficiency

(57) Abstract: The present description provides a drug that causes a highly efficient skipping of the 50th exon of the human dystrophin gene. The present description also provides an antisense oligomer that induces skipping of the 50th exon of the human dystrophin gene.

(57) 要約: 本明細書において、ヒトジストロフィン遺伝子の第50番目のエクソンを、高効率にスキッピングさせる薬剤が提供される。また、本明細書において、ヒトジストロフィン遺伝子の第50番目のエクソンのスキッピングを誘導するアンチセンスオリゴマーが提供される。

(81) 指定国(表示のない限り、全ての種類の国内保護が可能): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, IT, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

(84) 指定国(表示のない限り、全ての種類の広域保護が可能): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), ユーラシア (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), ヨーロッパ (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, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

添付公開書類:

- 一 国際調査報告 (条約第21条(3))
- 一 明細書の別個の部分として表した配列リスト (規則5.2(a))