

(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
2022年12月29日(29.12.2022)



(10) 国際公開番号

WO 2022/270585 A1

(51) 国際特許分類:

C12N 15/113 (2010.01) A61K 31/7125 (2006.01)
A61K 31/711 (2006.01) A61K 48/00 (2006.01)
A61K 31/712 (2006.01) A61P 21/04 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2022/025120

(22) 国際出願日: 2022年6月23日(23.06.2022)

(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 2021-104145 2021年6月23日(23.06.2021) 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14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: 戸根 悠一郎 (TONE Yuichiro); 〒6018550 京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町14番地 日本新薬株式会社内 Kyoto (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). 本橋 紀夫(MOTOHASHI Norio); 〒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).

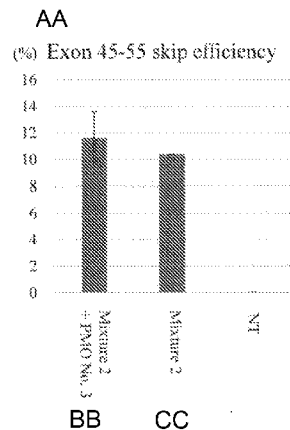
(74) 代理人: 小林 浩, 外 (KOBAYASHI Hiroshi et al.); 〒1040028 東京都中央区八重洲二丁目8番7号 福岡ビル9階 阿部・井窪・片山法律事務所 Tokyo (JP).

(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, IQ, IR, IS, IT, JM, JO, JP,

(54) Title: COMBINATION OF ANTISENSE OLIGOMERS

(54) 発明の名称: アンチセンスオリゴマーの組み合わせ

[図1]



AA Exon 45-55 skip efficiency
BB Mixture 2 + PMO No. 3
CC Mixture 2
DD n=1-2, SEM is indicated by error bar

(57) Abstract: In the present description, provided is a combination of antisense oligomers, which induce simultaneous skipping of any two or more exons, said exons being consecutive in numerical order, selected from the group consisting of the 45th exon to the 55th exon in the human dystrophin pre-mRNA, pharmaceutically acceptable salts thereof or hydrates of the same.

(57) 要約: 本明細書において、ヒトジストロフィン pre-mRNA における第45番目のエクソンから第55番目のエクソンからなる群より選択されるいずれか2つ以上の番号順に連続するエクソンを同時にスキッピングさせるアンチセンスオリゴマー若しくはその医薬的に許容可能な塩又はそれらの水和物の組み合わせが提供される。

[続葉有]



WO 2022/270585 A1