

(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
2023年9月21日(21.09.2023)



(10) 国際公開番号

WO 2023/176862 A1

- (51) 国際特許分類:
C12N 15/113 (2010.01) A61K 47/54 (2017.01)
A61K 31/712 (2006.01) A61K 48/00 (2006.01)
A61K 31/7125 (2006.01) A61P 7/02 (2006.01)
A61K 31/713 (2006.01) A61P 43/00 (2006.01)
A61K 47/26 (2006.01) C07H 21/04 (2006.01)
- (21) 国際出願番号: PCT/JP2023/009973
- (22) 国際出願日: 2023年3月15日(15.03.2023)
- (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 2022-041864 2022年3月16日(16.03.2022) JP
- (71) 出願人: 第一三共株式会社(DAIICHI SANKYO COMPANY, LIMITED) [JP/JP]; 〒1038426 東京都中央区日本橋本町三丁目5番1号 Tokyo (JP).
- (72) 発明者: 小泉 誠(KOIZUMI, Makoto); 〒1038426 東京都中央区日本橋本町三丁目5番1号 第一三共株式会社内 Tokyo (JP). 小路 貴生(SHOJI, Takao); 〒1038426 東京都中央区日本橋本町三丁目5番1号 第一三共株式会社内 Tokyo (JP). 福永 大地(FUKUNAGA, Taichi); 〒1038426 東京都中央区日本橋本町三丁目5番1号 第一三共株式会社内 Tokyo (JP).
- (74) 代理人: 石橋 公樹, 外(ISHIBASHI Koki et al.); 〒1400005 東京都品川区広町一丁目2番58号 第一三共株式会社内 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, CV, 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, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, MG, MK, MN, MU, 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, CV, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SC, 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, ME, 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:
— 国際調査報告 (条約第21条(3))
— 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))

(54) Title: siRNA FOR SUPPRESSING EXPRESSION OF TRANSFERRIN RECEPTOR-2

(54) 発明の名称: トランスフェリン受容体2の発現を抑制する s i R N A

(57) Abstract: For example, the present invention provides a new siRNA that has a gene expression suppressing action and/or an RNA interference action with respect to mRNA encoding TfR2. The present invention pertains to: an oligonucleotide that has a knockdown action with respect to mRNA of transferrin receptor-2 and that includes an antisense strand region including a target corresponding sequence that is substantially complementary to a target sequence in mRNA encoding TfR2, and a sense strand region including a nucleotide sequence substantially complementary to the target corresponding sequence in the antisense strand region; a pharmaceutically acceptable salt of the oligonucleotide; and the like.

(57) 要約: T f R 2 をコードする m R N A に対する R N A 干渉作用及び／又は遺伝子発現抑制作用を有する新規な s i R N A を提供することなど。 T f R 2 をコードする m R N A における標的配列と実質的に相補的な標的対応配列を含むアンチセンス鎖領域、及び、前記アンチセンス鎖領域の標的対応配列と実質的に相補的なヌクレオチド配列を含むセンス鎖領域、からなるトランスフェリン受容体2の m R N A に対するノックダウン作用を有するオリゴヌクレオチド又はその薬学上許容される塩など。

WO 2023/176862 A1