

(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6月16日(16.06.2022)



(10) 国際公開番号

WO 2022/124345 A1

(51) 国際特許分類:

C12N 15/11 (2006.01) A61P 11/08 (2006.01)
A61K 31/7105 (2006.01) A61P 21/00 (2006.01)
A61K 31/711 (2006.01) A61P 25/14 (2006.01)
A61K 31/712 (2006.01) A61P 25/28 (2006.01)
A61K 31/7125 (2006.01) A61P 43/00 (2006.01)
A61K 47/60 (2017.01) C07H 21/02 (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01) C07H 21/04 (2006.01)
A61P 11/00 (2006.01) C12N 9/78 (2006.01)
A61P 11/06 (2006.01) C12N 15/09 (2006.01)

(30) 優先権データ:

特願 2020-203658 2020年12月8日(08.12.2020) JP
特願 2021-157151 2021年9月27日(27.09.2021) JP

(71) 出願人: 学校法人福岡大学 (FUKUOKA UNIVERSITY) [JP/JP]; 〒8140180 福岡県福岡市城南区七隈8丁目19番1号 Fukuoka (JP). 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).

(21) 国際出願番号: PCT/JP2021/045184

(22) 国際出願日: 2021年12月8日(08.12.2021)

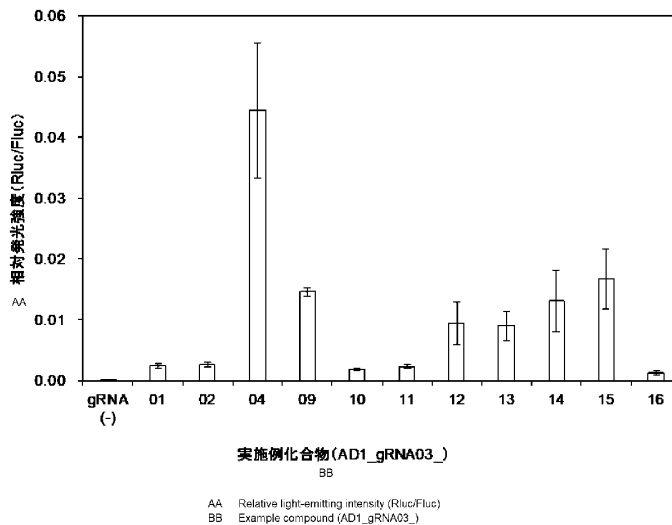
(25) 国際出願の言語: 日本語

(26) 国際公開の言語: 日本語

(72) 発明者: 福田 将虎 (FUKUDA, Masatora); 〒8140180 福岡県福岡市城南区七隈八丁目19番1号 学校法人福岡大学内 Fukuoka (JP). 小泉 誠(KOIZUMI, Makoto); 〒1038426 東京都中央

(54) Title: STABLE TARGET-EDITING GUIDE RNA TO WHICH CHEMICALLY MODIFIED NUCLEIC ACID IS INTRODUCED

(54) 発明の名称: 化学修飾核酸を導入した安定型標的編集ガイドRNA



(57) Abstract: Provided is an oligonucleotide which can induce the editing activity of ADAR in cells and has excellent stability in a living body. The oligonucleotide includes a first oligonucleotide specifying target RNA, and a second oligonucleotide linked to the 5' side thereof. The first oligonucleotide is composed of a target-corresponding nucleotide residue, an oligonucleotide of 10-24 residues on a 3' side, and an oligonucleotide of 3-6 residues on a 5' side. The second oligonucleotide lacks nucleotide residues corresponding to target RNA at the 3' end, or has nucleotide residues that do not form a complementary pair, and has the number of residues of 2-10. The 3' side of the target-corresponding nucleotide residue is a 2'-deoxynucleotide residue, and in the oligonucleotide on the 3' side of the target-corresponding nucleotide residue, the third nucleotide residue from the target-corresponding nucleotide in the 3' direction is a 2'-deoxy-2'-fluoronu-

[続葉有]

区日本橋本町三丁目5番1号 第一三共株式会社
内 Tokyo (JP). 岩下 真三(IWASHITA, Shinzo);
〒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: 山 尾 憲 人, 外 (YAMAO, Norihito et al.); 〒5300017 大阪府大阪市北区角田町
8番1号 梅田阪急ビルオフィスタワー
青山特許事務所 Osaka (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, 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:

- 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))

cleotide residue.

(57) 要約: 細胞内で A D A R の編集活性を誘導することができ、生体内における安定性に優れるオリゴヌクレオチドが提供される。オリゴヌクレオチドは、標的RNAを特定する第一オリゴヌクレオチドと、その5'側に連結する第二オリゴヌクレオチドとを含む。第一オリゴヌクレオチドは、標的対応ヌクレオチド残基と、3'側の10-24残基のオリゴヌクレオチドと、5'側の3-6残基のオリゴヌクレオチドとからなる。第二オリゴヌクレオチドは、3'末端において標的RNAに対応するヌクレオチド残基が欠失しているか、相補対を形成しないヌクレオチド残基を有し、残基数が2から10である。標的対応ヌクレオチド残基の3'側は2'-デオキシヌクレオチド残基であり、標的対応ヌクレオチド残基の3'側のオリゴヌクレオチドは、標的対応ヌクレオチドから3'方向に3番目のヌクレオチド残基が2'-デオキシー-2'-フルオロヌクレオチド残基である。