(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
2015 年 7 月 2 日(02.07.2015)

WIPO | PCT

(10) 国際公開番号
WO 2015/099187 A1

(51) 国際特許分類:
C12N 15/113 (2010.01) *A61P 35/00* (2006.01)
A61K 31/7088 (2006.01) *A61P 43/00* (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2014/084724

(22) 国際出願日: 2014 年 12 月 27 日(27.12.2014)

(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 2013-273033 2013 年 12 月 27 日(27.12.2013) JP

(71) 出願人: 株式会社ボナック (BONAC CORPORATION) [JP/JP]; 〒8390861 福岡県久留米市合川町１４８８－４ Fukuoka (JP). 学校法人東京医科大学 (TOKYO MEDICAL UNIVERSITY) [JP/JP]; 〒1608402 東京都新宿区新宿６丁目１番１号 Tokyo (JP).

(72) 発明者: 黒田 雅彦 (KURODA, Masahiko); 〒1608402 東京都新宿区新宿６丁目１番１号 学校法人東京医科大学内 Tokyo (JP). 大野 慎一郎 (OHNO, Shinichiro); 〒1608402 東京都新宿区新宿６丁目１番１号 学校法人東京医科大学内 Tokyo (JP). 青木 絵里子 (AOKI, Eriko); 〒8390861 福岡県久留米市合川町１４８８－４ 福岡バイオファクトリー 株式会社ボナック内 Fukuoka (JP). 吉田 安彦 (YOSHIDA, Yasuhiko); 〒8390861 福岡県久留米市合川町１４８８－４ 福岡バイオファクトリー 株式会社ボナック内 Fukuoka (JP). 加藤 志織 (KATO, Shiori); 〒8390861 福岡県久留米市合川町１４８８－４ 福岡バイオファクトリー 株式会社ボナック内 Fukuoka (JP). 大木 忠明 (OHGI, Tadaaki); 〒8390861 福岡県久留米市合川町１４８８－４ 福岡バイオファクトリー 株式会社ボナック内 Fukuoka (JP).

(74) 代理人: 高島 一 (TAKASHIMA, Hajime); 〒5410044 大阪府大阪市中央区伏見町四丁目１番１号 明治安田生命大阪御堂筋ビル 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, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, JP, KE, KG, KN, KP, KR, 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, SM, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, 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)）

WO 2015/099187 A1

(54) **Title**: ARTIFICIAL MATCH-TYPE MIRNA FOR CONTROLLING GENE EXPRESSION AND USE THEREFOR

(54) 発明の名称 : 遺伝子発現制御のための人工マッチ型ｍｉＲＮＡおよびその用途

(57) **Abstract**: The present invention provides a novel artificial match-type miRNA that uses miRNA. The artificial match-type miRNA is a single-stranded nucleic acid comprising an X region and a Y region and is configured such that: the 3'-end of the X region and the 5'-end of the Y region are connected via a linker region having a non-nucleotide structure; the X region comprises a mature miRNA guide strand sequence; and the Y region is a single-stranded nucleic acid comprising a sequence that is completely complementary to the X region. This artificial match-type miRNA makes it possible to inhibit the expression of a target gene.

(57) 要約: 本発明は、ｍｉＲＮＡを利用した新たな人工マッチ型ｍｉＲＮＡを提供する。 Ｘ領域とＹ領域とを有する一本鎖核酸であり、前記Ｘ領域の３'末端と前記Ｙ領域の５'末端とが非ヌクレオチド構造のリンカー領域を介して連結し、前記Ｘ領域は、成熟ｍｉＲＮＡのガイド鎖配列を含み、前記Ｙ領域は、前記Ｘ領域と完全に相補な配列を含む一本鎖核酸を、人工マッチ型ｍｉＲＮＡとする。この人工マッチ型ｍｉＲＮＡによれば、前記標的遺伝子の発現を抑制できる。