(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
2024年2月8日(08.02.2024)

WIPO | PCT

(10) 国際公開番号
WO 2024/029593 A1

(51) 国際特許分類:
*C12N 15/12* (2006.01) *A61P 13/12* (2006.01)
*A61K 38/17* (2006.01) *A61P 43/00* (2006.01)
*A61K 48/00* (2006.01) *C12N 15/63* (2006.01)

(21) 国際出願番号： PCT/JP2023/028405

(22) 国際出願日： 2023年8月3日(03.08.2023)

(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 2022-124947 2022年8月4日(04.08.2022) JP

(71) 出願人：大塚製薬株式会社(**OTSUKA PHARMACEUTICAL CO., LTD.**) [JP/JP]；〒1018535 東京都千代田区神田司町２丁目９番地 Tokyo (JP).

(72) 発明者：西 川 博 (**NISHIKAWA, Hiroshi**)；〒5400021 大阪府大阪市中央区大手通３－２－２７ 大塚製薬株式会社内 Osaka (JP). 小栗 弘大(**OGURI, Koudai**)；〒5400021 大阪府大阪市中央区大手通３－２－２７ 大塚製薬株式会社内 Osaka (JP). 水口 寛(**MIZUGUCHI, Hiroshi**)；〒5400021 大阪府大阪市中央区大手通３－２－２７ 大塚製薬株式会社内 Osaka (JP). 林 陽平(**HAYASHI, Yohei**)；〒5400021 大阪府大阪市中央区大手通３－２－２７ 大塚製薬株式会社内 Osaka (JP). 酒巻 稚子(**SAKAMAKI, Wakako**)；〒5400021 大阪府大阪市中央区大手通３－２－２７ 大塚製薬株式会社内 Osaka (JP). 峰野 くるみ(**MINENO, Kurumi**)；〒5400021 大阪府大阪市中央区大手通３－２－２７ 大塚製薬株式会社内 Osaka (JP). 原田 雄生(**HARADA, Takeo**)；〒5400021 大阪府大阪市中央区大手通３－２－２７ 大塚製薬株式会社内 Osaka (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 大阪梅田ツインタワーズ・ノース 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, 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).

(54) **Title:** SHORTENED POLYCYSTIN-1 POLYPEPTIDE AND USE THEREOF

(54) 発明の名称： 短縮型ポリシスチン１ポリペプチドおよびその用途

(57) **Abstract:** The present disclosure includes: a polynucleotide comprising a sequence encoding shortened polycystin-1 (PC1) having a cyst formation-inhibiting activity, in which the shortened PC1 contains a PC1 C-terminal tail (CTT) domain or a part thereof; a shortened PC1 polypeptide encoded by the polynucleotide; a vector carrying the polynucleotide; a pharmaceutical composition for treating PKD1-related diseases, which contains the polynucleotide, the polypeptide or the vector; and others.

(57) 要約：本開示は、嚢胞形成抑制作用を有する短縮型ポリシスチン１（ＰＣ１）をコードする配列を含むポリヌクレオチドであって、短縮型ＰＣ１がＰＣ１のＣ末端テール（ＣＴＴ）領域またはその一部を含むポリヌクレオチド、前記ポリヌクレオチドにコードされる短縮型ＰＣ１ポリペプチド、前記ポリヌクレオチドを含むベクター、前記ポリヌクレオチド、ポリペプチド、またはベクターを含むＰＫＤ１関連疾患を治療するための医薬組成物などを含む。

WO 2024/029593 A1

［続葉有］

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)）