(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
2020年4月30日(30.04.2020)

WIPO | PCT

(10) 国際公開番号
WO 2020/085456 A1

(51) 国際特許分類:
A61K 31/713 (2006.01) *A61K 47/28* (2006.01)
A61P 13/00 (2006.01) *A61K 47/34* (2017.01)
A61P 43/00 (2006.01) *A61K 47/54* (2017.01)
A61K 9/127 (2006.01) *A61K 47/56* (2017.01)
A61K 47/22 (2006.01) *C12N 15/113* (2010.01)
A61K 47/24 (2006.01)

(21) 国際出願番号： PCT/JP2019/041783

(22) 国際出願日： 2019年10月24日(24.10.2019)

(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 2018-201777 2018年10月26日(26.10.2018) JP
16/354,916 2019年3月15日(15.03.2019) US

(71) 出願人: エーザイ・アール・アンド・ディー・マネジメント株式会社 (**EISAI R&D MANAGEMENT CO., LTD.**) [JP/JP]; 〒1128088 東京都文京区小石川四丁目６番１０号 Tokyo (JP).

(72) 発明者: 鈴木 裕太(**SUZUKI Yuta**); 〒3002635 茨城県つくば市東光台５丁目１番地３ エーザイ株式会社 筑波研究所内 Ibaraki (JP). 元井 崇太郎(**MOTOI Sotaro**); 〒6500047 兵庫県神戸市中央区港島南町六丁目８番地２ 株式会社カン研究所内 Hyogo (JP). 高橋 良典(**TAKAHASHI Yoshinori**); 〒3002635 茨城県つくば市東光台５丁目１番地３ エーザイ株式会社 筑波研究所内 Ibaraki (JP). 田原 和浩(**TAHARA Kazuhiro**); 〒6500047 兵庫県神戸市中央区港島南町六丁目８番地２ 株式会社カン研究所内 Hyogo (JP).

(74) 代理人: 長谷川 芳樹, 外(**HASEGAWA Yoshiki et al.**); 〒1000005 東京都千代田区丸の内二丁目１番１号丸の内 ＭＹ ＰＬＡＺＡ（明治安田生命ビル） ９階 創英国際特許法律事務所 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, IR, IS, 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, 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)）
— 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)）

WO 2020/085456 A1

(54) **Title:** DOUBLE-STRANDED RIBONUCLEIC ACID INHIBITING EXPRESSION OF COMPLEMENT C5

(54) 発明の名称： 補体Ｃ５の発現を抑制する二本鎖リボ核酸

(57) **Abstract:** Disclosed is a double-stranded ribonucleic acid that comprises a combination of a sense strand with an antisense strand, said combination being selected from the group consisting of SEQ ID NOS: 159 and 160, SEQ ID NOS: 141 and 142, SEQ ID NOS: 143 and 144, SEQ ID NOS: 145 and 146, SEQ ID NOS: 147 and 148 and SEQ ID NOS: 153 and 154.

(57) 要約：配列番号１５９及び１６０、配列番号１４１及び１４２、配列番号１４３及び１４４、配列番号１４５及び１４６、配列番号１４７及び１４８、並びに配列番号１５３及び１５４からなる群から選択されるセンス鎖及びアンチセンス鎖の組み合わせを有する、二本鎖リボ核酸を開示する。