

(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11月3日(03.11.2022)



(10) 国際公開番号

WO 2022/230924 A1

(51) 国際特許分類:

A61K 48/00 (2006.01) C12N 15/12 (2006.01)
A61P 21/00 (2006.01) C12N 15/86 (2006.01)
C07K 16/18 (2006.01) A61K 38/16 (2006.01)
C12N 5/10 (2006.01) A61K 35/76 (2015.01)
C12N 7/00 (2006.01) A61K 35/761 (2015.01)
C12N 1/15 (2006.01) A61K 35/763 (2015.01)
C12N 1/19 (2006.01) C07K 14/47 (2006.01)
C12N 1/21 (2006.01)

市山田丘1番1号 Osaka (JP), エディット
フォース株式会社(EDITFORCE, INC.) [JP/
JP]; 〒8100001 福岡県福岡市中央区天神一
丁目9番17号 Fukuoka (JP).

(72) 発明者: 中森 雅之 (NAKAMORI, Masayuki);
〒5650871 大阪府吹田市山田丘1番1号 国立
大学法人大阪大学内 Osaka (JP), 八木 祐介
(YAGI, Yusuke); 〒8100001 福岡県福岡市中央
区天神一丁目9番17号 エディットフォース
株式会社内 Fukuoka (JP), 今井 崇喜 (IMAI,
Takayoshi); 〒8100001 福岡県福岡市中央
区天神一丁目9番17号 エディットフォース株
式会社内 Fukuoka (JP), 沖井 英里香 (OKII,
Erika); 〒8100001 福岡県福岡市中央
区天神一丁目9番17号 エディットフォース株
式会社内 Fukuoka (JP), 玉井 喬之 (TAMAI,
Takayuki); 〒8100001 福岡県福岡市中央
区天神一丁目9番17号 エディットフォース株
式会社内 Fukuoka (JP), ニ

(21) 国際出願番号: PCT/JP2022/019038

(22) 国際出願日: 2022年4月27日(27.04.2022)

(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 2021-077262 2021年4月30日(30.04.2021) JP

(71) 出願人: 国立大学法人大阪大学 (OSAKA
UNIVERSITY) [JP/JP]; 〒5650871 大阪府吹田

(54) Title: THERAPEUTIC DRUG FOR MYOTONIC DYSTROPHY TYPE 1

(54) 発明の名称: 筋強直性ジストロフィー1型治療薬

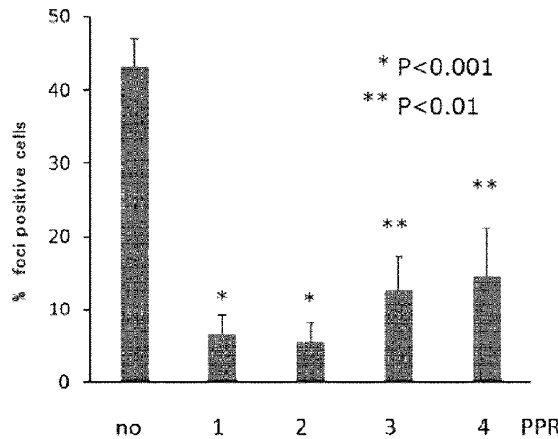


図2: RNA-foci形成抑制効果 AA

1: mCLO-CUG-PPR1, 2: mCLO-CUG-PPR2, 3: mCLO-CUG-PPR3, 4: mCLO-CUG-PPR4

AA RNA-foci formation suppressing effect

(57) Abstract: [Problem] To provide a pharmaceutical composition or a method that is effective in the therapy of myotonic dystrophy type 1 (DM1). [Solution] Provided is a drug or a method for the therapy of DM1 by using a modified PPR protein.

(57) 要約: 【課題】筋強直性ジストロフィー1型(DM1)の治療に有効な医薬組成物または方法を提供する。【解決手段】改変されたPPRタンパク質を利用したDM1の治療薬または治療方法を提供する。

[続葉有]



WO 2022/230924 A1

宮 理紗(NINOMIYA, Risa); 〒8100001 福岡県
福岡市中央区天神一丁目9番17号 エディ
ットフォース株式会社内 Fukuoka (JP).

(74) 代理人: 南条 雅裕, 外(NANJO, Masahiro et al.);
〒1600022 東京都新宿区新宿1-1-7 コス
モ新宿御苑ビル3階 特許業務法人 東京 A
C T i 国際特許事務所 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, IT, JM, 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))