

(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
2021年9月2日(02.09.2021)



(10) 国際公開番号

WO 2021/172498 A1

- (51) 国際特許分類:
A61K 48/00 (2006.01) C12N 15/113 (2010.01)
A61P 21/04 (2006.01) C12N 15/12 (2006.01)
C07K 14/47 (2006.01) A61K 31/7088 (2006.01)
- (21) 国際出願番号: PCT/JP2021/007286
- (22) 国際出願日: 2021年2月26日(26.02.2021)
- (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 2020-033483 2020年2月28日(28.02.2020) JP
- (71) 出願人: 日本新薬株式会社(NIPPON SHINYAKU CO., LTD.) [JP/JP]; 〒6018550 京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町1番地 Kyoto (JP). 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター (NATIONAL CENTER OF NEUROLOGY AND PSYCHIATRY) [JP/JP]; 〒1878551 東京都小平市小川東町4丁目1番1号 Tokyo (JP).
- (72) 発明者: 本多 優(HONDA Yu); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1番4-1 日本新薬株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 鞭馬 奏萌(MUCHIMA Kaname); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1番4-1 日本新薬株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 福井 崇弘(FUKUI Takahiro); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1番4-1 日本新薬株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 長谷川 佐季(HASEGAWA Saki); 〒3050003 茨城県つくば市桜三丁目1番4-1 日本新薬株式会社 東部創薬研究所内 Ibaraki (JP). 武田 伸一(TAKEDA Shin'ichi); 〒1878551 東京都小平市小川東町4丁目1番1号 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター内 Tokyo (JP). 青木 吉嗣(AOKI Yoshitsugu); 〒1878551 東京都小平市小川東町4丁目1番1号 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター内 Tokyo (JP).
- (74) 代理人: 小林 浩, 外 (KOBAYASHI Hiroshi et al.); 〒1040028 東京都中央区八重洲二丁目8番7号 福岡ビル9階 阿部・井窪・片山法律事務所 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, 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))

WO 2021/172498 A1

(54) Title: ANTISENSE NUCLEIC ACID INDUCING SKIPPING OF EXON 51

(54) 発明の名称: エクソン51のスキッピングを誘導するアンチセンス核酸

(57) Abstract: Provided is a drug that allows efficient skipping of the 51st exon in human dystrophin gene. Also provided is an antisense oligomer that has an activity of inducing skipping of the 51st exon in human dystrophin gene.

(57) 要約: 本明細書において、ヒトジストロフィン遺伝子の第51番目のエクソンを、高効率にスキッピングさせる薬剤が提供される。また、本明細書において、ヒトジストロフィン遺伝子の第51番目のエクソンのスキッピングを誘導する活性を有するアンチセンスオリゴマーが提供される。