

【公報種別】特許法第17条の2の規定による補正の掲載

【部門区分】第1部門第1区分

【発行日】令和6年10月28日(2024.10.28)

【国際公開番号】WO2022/079453

【公表番号】特表2023-545229(P2023-545229A)

【公表日】令和5年10月27日(2023.10.27)

【年通号数】公開公報(特許)2023-203

【出願番号】特願2022-573176(P2022-573176)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/13(2006.01)

C 1 2 N 15/113(2010.01)

C 1 2 N 15/115(2010.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 P 27/02(2006.01)

A 6 1 P 27/06(2006.01)

A 6 1 P 9/00(2006.01)

A 6 1 P 29/00(2006.01)

10

20

【F I】

C 1 2 N 15/13 Z N A

C 1 2 N 15/113 1 4 0 Z

C 1 2 N 15/115 Z

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 27/06

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 29/00

30

【手続補正書】

【提出日】令和6年10月17日(2024.10.17)

【手続補正1】

【補正対象書類名】特許請求の範囲

【補正対象項目名】全文

【補正方法】変更

40

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

(i) 抗VEGF実体と、(ii) 負の補体調節因子とをコードするヌクレオチド配列を含む単離ポリヌクレオチド。

【請求項2】

前記抗VEGF実体が、Ig融合タンパク質、抗体、ポリペプチド、ペプチド、非抗体足場、アンチセンスオリゴヌクレオチド、siRNA、shRNA、CRISPRガイド鎖、およびアプタマーから選択される、請求項1に記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項3】

50

前記抗VEGF実体が、アフリベルセプト、ラニビズマブ、ベバシズマブ、プロルシズマブ、およびペガブタニブから選択される、請求項2に記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項4】

前記抗VEGF実体が、アフリベルセプトであり、例えば、前記アフリベルセプトが、配列番号2～11のいずれかと少なくとも75%の同一性を有するポリヌクレオチド配列によりコードされる、請求項3に記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項5】

前記負の補体調節因子が、補体I因子(CFI)、補体FHL1(factor H like protein 1)、補体H因子(CFH)、1型補体受容体(CR1)、MCP(membrane cofactor protein)、補体DAF(decay-accelerating factor)、MAC(membrane attack complex)阻害性タンパク質(MAC-IP)、C1阻害剤、アナフィラトキシン阻害剤、C4b結合性タンパク質(C4BP)、クラステリン、ビトロネクチン、またはこれらの変異体もしくは断片から選択される、請求項1から4のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

10

【請求項6】

前記負の補体調節因子が、CFIおよびFHL1、またはこれらの変異体もしくは断片から選択される、請求項5に記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項7】

アフリベルセプトをコードするヌクレオチド配列が、配列番号11に対する、少なくとも75%の配列同一性を有する、請求項3から6のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

20

【請求項8】

CFIをコードするヌクレオチド配列が、配列番号35もしくは36に対する、少なくとも75%の配列同一性を有する、請求項6または7に記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項9】

FHL-1をコードするヌクレオチド配列が、配列番号41に対する、少なくとも75%の配列同一性を有する、請求項6または7に記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項10】

配列番号45～54のヌクレオチド配列、またはこれに対する、少なくとも75%の配列同一性を有するヌクレオチド配列を含む、請求項3から9のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

30

【請求項11】

前記ポリヌクレオチドが、2つのAAV ITRを含み、好ましくは、前記AAV ITRが、AAV2 ITRである、請求項1～10のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項12】

前記抗VEGF実体をコードするヌクレオチド配列が、前記負の補体調節因子をコードするヌクレオチド配列の上流にある、請求項1～11のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

40

【請求項13】

前記負の補体調節因子をコードするヌクレオチド配列が、前記抗VEGF実体をコードするヌクレオチド配列の上流にある、請求項1～11のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項14】

前記ポリヌクレオチドが、配列番号55もしくは65のヌクレオチド配列、または配列番号55もしくは65のヌクレオチド配列と少なくとも75%、80%、85%、86%、87%、88%、89%、90%、91%、92%、93%、94%、95%、96%、97%、98%もしくは99%の配列同一性を有するヌクレオチド配列を伴う、5' AAV ITRを含む、請求項1～13のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

50

【請求項 15】

前記ポリヌクレオチドが、配列番号 57 もしくは 66 のヌクレオチド配列、または配列番号 57 もしくは 66 のヌクレオチド配列と少なくとも 75%、80%、85%、86%、87%、88%、89%、90%、91%、92%、93%、94%、95%、96%、97%、98% もしくは 99% の配列同一性を有するヌクレオチド配列を伴う、3' AAV ITR を含む、請求項 1 ~ 14 のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項 16】

前記ポリヌクレオチドが、プロモーター配列を含み、前記プロモーター配列が、配列番号 59 もしくは 60 の配列、または配列番号 59 もしくは 60 の配列と少なくとも 75%、80%、85%、90%、95%、96%、97%、98%、または 99% の同一性を有する配列である、請求項 1 ~ 15 のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

10

【請求項 17】

前記ポリヌクレオチドが、ウシ成長ホルモンポリ A (bGH ポリ A) シグナルを含む、請求項 1 ~ 16 のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項 18】

前記ウシ成長ホルモンポリ A (bGH ポリ A) シグナルが、配列番号 61 もしくは 62 のヌクレオチド配列、または配列番号 61 もしくは 62 の配列と少なくとも 75%、80%、85%、90%、95%、96%、97%、98%、または 99% の同一性を有するヌクレオチド配列を有する、請求項 17 に記載の単離ポリヌクレオチド。

【請求項 19】

請求項 1 から 18 のいずれか一項に記載の単離ポリヌクレオチドを含むベクター。

20

【請求項 20】

任意選択で、ウイルスベクター粒子、好ましくは、AAV2 ゲノムと、AAV2 カプシドタンパク質または AAV8 カプシドタンパク質とを含む AAV ベクター粒子の形態にあるアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターである、請求項 19 に記載のベクター。

【請求項 21】

眼内の標的細胞に対する、天然の指向性、または感染効率の高さを有する血清型を有する、請求項 20 に記載のベクター。

【請求項 22】

前記 AAV が、AAV2 血清型または AAV8 血清型である、請求項 20 に記載のベクター。

30

【請求項 23】

薬学的に許容される担体、希釈剤、または賦形剤と組み合わせた、請求項 1 から 22 のいずれか一項に記載の単離ポリヌクレオチドまたはベクターを含む医薬組成物。

【請求項 24】

治療における使用のための、請求項 1 から 23 のいずれか一項に記載の単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

【請求項 25】

眼の補体媒介性障害、例えば、加齢黄斑変性 (AMD)、糖尿病網膜症、緑内障、スターガルト病、中心性漿液性脈絡網膜症、色素性網膜炎、ポリープ状脈絡膜血管症、糖尿病性黄斑浮腫、網膜静脈分枝閉塞症、またはブドウ膜炎、好ましくは、AMD の処置または防止における使用のための、請求項 1 から 24 のいずれか一項に記載の単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

40

【請求項 26】

AMD が、湿潤型 AMD および / または乾燥型 AMD である、請求項 25 に記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

【請求項 27】

i) AMD が、湿潤型 AMD であり、前記使用が、さらに、対象における乾燥型 AMD の発症を防止および / もしくは処置するか、または ii) AMD が、乾燥型 AMD であり、前記使用が、さらに、対象における湿潤型 AMD の発症を防止および / もしくは処置す

50

るか、または i i i) 前記使用が、乾燥型 A M D と、湿潤型 A M D とを、同時に、防止および / もしくは処置する、請求項 2 5 に記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

【請求項 2 8】

A M D が、湿潤型 A M D であり、前記使用が、さらに、対象における乾燥型 A M D の発症を防止および / もしくは処置する、請求項 2 7 に記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

【請求項 2 9】

(i) 地図状萎縮の形成が、防止もしくは軽減され、かつ / または地図状萎縮の量が、低減されるか、あるいは地図状萎縮の進行が、緩徐化されるか；

(i i) 対象の処置眼への投与後 1 2 カ月間にわたり、同じ期間にわたる非処置眼と比べて、少なくとも 1 0 % の、地図状萎縮面積の増大の低減がみられるか；あるいは

(i i i) 前記単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物の投与が、対象、または対象の網膜色素上皮 (R P E) など、対象の眼における、C 3 b 不活化 / i C 3 b 分解活性のレベルを、任意選択で対象またはその眼もしくは R P E における正常レベルを超えるレベルへと、上昇させる、

請求項 2 5 から 2 8 のいずれかに記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

【請求項 3 0】

i) 新血管形成が、防止もしくは軽減され、i i) 血管漏出が、防止もしくは軽減され、かつ / または i i i) 網膜浮腫が、防止もしくは軽減される、請求項 2 5 から 2 9 のいずれかに記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

【請求項 3 1】

例えば、網膜下注射、直接的な網膜内注射、脈絡膜上注射、または硝子体内注射により、眼内投与される、請求項 2 5 から 3 0 のいずれか一項に記載の使用のための単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

【請求項 3 2】

i) 湿潤型 A M D の処置における、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用であって、さらに、対象における乾燥型 A M D の発症を、防止および / もしくは処置する使用；または i i) 乾燥型 A M D の処置における、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用であって、さらに、対象における湿潤型 A M D の発症を防止および / もしくは処置する使用、または i i i) 乾燥型 A M D と、湿潤型 A M D とを、同時に、処置および / もしくは防止するための、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用のための組合せ調製物としての、(i) 抗 V E G F 実体；および (i i) 負の補体調節因子、またはこれをコードするヌクレオチド配列を含む生成物。

【請求項 3 3】

湿潤型 A M D の処置における、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用であって、さらに、対象における乾燥型 A M D の発症を防止および / もしくは処置する使用のための、請求項 3 2 に記載の使用のための生成物。

【請求項 3 4】

前記抗 V E G F 実体が、I g 融合タンパク質、抗体、ポリペプチド、ペプチド、非抗体足場、アンチセンスオリゴヌクレオチド、s i R N A、s h R N A、C R I S P R ガイド鎖、およびアプタマーから選択され、好ましくは、前記抗 V E G F 実体が、アフリベルセプト、ラニズマブ、ベパシズマブ、プロルシズマブ、およびペガブタニブから選択される、請求項 3 2 または 3 3 に記載の使用のための生成物。

【請求項 3 5】

前記負の補体調節因子が、補体 I 因子 (C F I)、補体 F H L 1 (f a c t o r H l i k e p r o t e i n 1)、補体 H 因子 (C F H)、1 型補体受容体 (C R 1)、M C P (m e m b r a n e c o f a c t o r p r o t e i n)、補体 D A F (d e c a y - a c c e l e r a t i n g f a c t o r)、M A C (m e m b r a n e a t t

10

20

30

40

50

a c k c o m p l e x) 阻害性タンパク質 (M A C - I P)、C 1 阻害剤、アナフィラトキシン阻害剤、C 4 b 結合性タンパク質 (C 4 B P)、クラスτεリン、ビトロネクチン、またはこれらの変異体もしくは断片から選択され、好ましくは、前記負の補体調節因子が、C F I もしくは F H L 1、またはこれらの変異体もしくは断片から選択される、請求項 3 2 から 3 4 のいずれかに記載の使用のための生成物。

【請求項 3 6】

医薬としての同時的使用、別個の使用、または逐次的使用のための組合せ調製物としての、(i) 抗 V E G F 実体；および (i i) I 因子、またはこれをコードするヌクレオチド配列を含む生成物。

【請求項 3 7】

加齢黄斑変性 (A M D)、糖尿病網膜症、緑内障、スターガルト病、中心性漿液性脈絡網膜症、色素性網膜炎、ポリプ状脈絡膜血管症、糖尿病性黄斑浮腫、網膜静脈分枝閉塞症、またはブドウ膜炎などの補体媒介性眼障害、好ましくは、A M D の処置または防止における使用のための、請求項 3 6 に記載の使用のための生成物。

【請求項 3 8】

(i) 地図状萎縮の形成が、防止もしくは軽減され、かつ/または地図状萎縮の量が、低減されるか、あるいは地図状萎縮の進行が、緩徐化されるか；

(i i) 対象の処置眼への投与後 1 2 カ月間にわたり、同じ期間にわたる非処置眼と比べて、少なくとも 1 0 % の、地図状萎縮面積の増大の低減がみられるか；あるいは

(i i i) 前記単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物の投与が、対象、または対象の網膜色素上皮 (R P E) など、対象の眼における、C 3 b 不活化 / i C 3 b 分解活性のレベルを、任意選択で対象またはその眼もしくは R P E における正常レベルを超えるレベルへと、上昇させる、

請求項 3 2 から 3 7 のいずれかに記載の使用のための生成物。

【請求項 3 9】

i) 新血管形成が、防止もしくは軽減され、i i) 血管漏出が、防止もしくは軽減され、かつ/または i i i) 網膜浮腫が、防止もしくは軽減される、請求項 3 2 から 3 8 のいずれかに記載の使用のための生成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 5 7 2

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 5 7 2】

上記明細書で言及された、全ての刊行物は、参照により本明細書に組み込まれる。本発明の範囲および精神から逸脱しない限りにおいて、当業者には、開示される、本発明の薬剤、組成物、使用、および方法に対する、多様な改変および変動が明らかであろう。本発明は、特異的な好ましい実施形態との関連で開示されたが、特許請求される本発明は、このような特異的な実施形態に、不当に限定されるべきではないことを理解されたい。実際、当業者に明らかである、本発明を実行するための、開示された方式に対する、多様な改変は、以下の特許請求の範囲内にあることが意図される。

以下に、当初の特許請求の範囲に記載の発明を列挙する。

[発明 1]

(i) 抗 V E G F 実体と、(i i) 負の補体調節因子とをコードするヌクレオチド配列を含む単離ポリヌクレオチド。

[発明 2]

前記抗 V E G F 実体が、I g 融合タンパク質、抗体、ポリペプチド、ペプチド、非抗体足場、アンチセンスオリゴヌクレオチド、s i R N A、s h R N A、C R I S P R ガイド鎖、およびアプタマーから選択される、発明 1 に記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明 3]

10

20

30

40

50

前記抗VEGF実体が、アフリベルセプト、ラニズマブ、ベバシズマブ、プロルシズマブ、およびペガブタニブから選択される、発明2に記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明4]

前記抗VEGF実体が、アフリベルセプトであり、例えば、前記アフリベルセプトが、配列番号3～11のうちのいずれか1つを含むポリヌクレオチド配列によりコードされる、発明3に記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明5]

前記負の補体調節因子が、補体I因子(CFI)、補体FHL1(factor H like protein 1)、補体H因子(CFH)、1型補体受容体(CR1)、MCP(membrane cofactor protein)、補体DAF(decay-accelerating factor)、MAC(membrane attack complex)阻害性タンパク質(MAC-IP)、C1阻害剤、アナフィラトキシン阻害剤、C4b結合性タンパク質(C4BP)、クラステリン、ビトロネクチン、またはこれらの変異体もしくは断片から選択される、発明1から4のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明6]

前記負の補体調節因子が、CFIおよびFHL1、またはこれらの変異体もしくは断片から選択される、発明5に記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明7]

アフリベルセプトをコードするヌクレオチド配列が、配列番号11に対する、少なくとも75%の配列同一性を有する、発明3から6のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明8]

CFIをコードするヌクレオチド配列が、配列番号35もしくは36に対する、少なくとも75%の配列同一性を有するか、またはFHL-1をコードするヌクレオチド配列が、配列番号41に対する、少なくとも75%の配列同一性を有する、発明6または7に記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明9]

配列番号45～54のヌクレオチド配列、またはこれに対する、少なくとも75%の配列同一性を有するヌクレオチド配列を含む、発明3から8のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明10]

4.7kb以下である、発明1から9のいずれかに記載の単離ポリヌクレオチド。

[発明11]

発明1から10のいずれか一つに記載の単離ポリヌクレオチドを含むベクター。

[発明12]

任意選択で、ウイルズベクター粒子、好ましくは、AAV2ゲノムと、AAV2カプシドタンパク質またはAAV8カプシドタンパク質とを含むAAVベクター粒子の形態にあるアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターである、発明11に記載のベクター。

[発明13]

薬学的に許容される担体、希釈剤、または賦形剤と組み合わせた、発明1から12のいずれか一つに記載の単離ポリヌクレオチドまたはベクターを含む医薬組成物。

[発明14]

治療における使用のための、発明1から13のいずれか一つに記載の単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

[発明15]

眼の補体媒介性障害、例えば、加齢黄斑変性(AMD)、糖尿病網膜症、緑内障、スターガルト病、中心性漿液性脈絡網膜症、色素性網膜炎、ポリープ状脈絡膜血管症、糖尿病性黄斑浮腫、網膜静脈分枝閉塞症、またはブドウ膜炎、好ましくは、AMDの処置または防止における使用のための、発明1から14のいずれか一つに記載の単離ポリヌクレオチ

10

20

30

40

50

ド、ベクター、または医薬組成物。

[発明 1 6]

A M D が、湿潤型 A M D および / または乾燥型 A M D である、発明 1 5 に記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

[発明 1 7]

i) A M D が、湿潤型 A M D であり、前記使用が、さらに、対象における乾燥型 A M D の発症を防止および / もしくは処置するか、または i i) A M D が、乾燥型 A M D であり、前記使用が、さらに、対象における湿潤型 A M D の発症を防止および / もしくは処置するか、または i i i) 前記使用が、乾燥型 A M D と、湿潤型 A M D とを、同時に、防止および / もしくは処置する、発明 1 5 に記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

10

[発明 1 8]

A M D が、湿潤型 A M D であり、前記使用が、さらに、対象における乾燥型 A M D の発症を防止および / または処置する、発明 1 7 に記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

[発明 1 9]

(i) 地図状萎縮の形成が、防止もしくは軽減され、かつ / または地図状萎縮の量が、低減されるか、あるいは地図状萎縮の進行が、緩徐化されるか；

(i i) 対象の処置眼への投与後 1 2 カ月間にわたり、同じ期間にわたる非処置眼と比べて、少なくとも 1 0 % の、地図状萎縮面積の増大の低減がみられるか；あるいは

20

(i i i) 前記単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物の投与が、対象、または対象の網膜色素上皮 (R P E) など、対象の眼における、C 3 b 不活化 / i C 3 b 分解活性のレベルを、任意選択で対象またはその眼もしくは R P E における正常レベルを超えるレベルへと、上昇させる、

発明 1 5 から 1 8 のいずれかに記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

[発明 2 0]

i) 新血管形成が、防止もしくは軽減され、i i) 血管漏出が、防止もしくは軽減され、かつ / または i i i) 網膜浮腫が、防止もしくは軽減される、発明 1 5 から 1 9 のいずれかに記載の使用のための、単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

30

[発明 2 1]

例えば、網膜下注射、直接的な網膜内注射、脈絡膜上注射、または硝子体内注射により、眼内投与される、発明 1 5 から 2 0 のいずれか一つに記載の使用のための単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物。

[発明 2 2]

i) 湿潤型 A M D の処置における、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用であって、さらに、対象における乾燥型 A M D の発症を、防止および / もしくは処置する使用；または i i) 乾燥型 A M D の処置における、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用であって、さらに、対象における湿潤型 A M D の発症を防止および / もしくは処置する使用、または i i i) 乾燥型 A M D と、湿潤型 A M D とを、同時に、処置および / もしくは防止するための、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用のための組合せ調製物としての、(i) 抗 V E G F 実体；および (i i) 負の補体調節因子、またはこれをコードするヌクレオチド配列を含む生成物。

40

[発明 2 3]

湿潤型 A M D の処置における、同時的使用、別個の使用、もしくは逐次的使用であって、さらに、対象における乾燥型 A M D の発症を防止および / もしくは処置する使用のための、発明 2 2 に記載の使用のための生成物。

[発明 2 4]

前記抗 V E G F 実体が、I g 融合タンパク質、抗体、ポリペプチド、ペプチド、非抗体足場、アンチセンスオリゴヌクレオチド、s i R N A、s h R N A、C R I S P R ガイド

50

鎖、およびアプタマーから選択され、好ましくは、前記抗VEGF実体が、アフリベルセプト、ラニズマブ、ベパシズマブ、プロルシズマブ、およびペガプタニブから選択される、発明22または23に記載の使用のための生成物。

[発明25]

前記負の補体調節因子が、補体I因子(CFI)、補体FHL1(factor H like protein 1)、補体H因子(CFH)、1型補体受容体(CR1)、MCP(membrane cofactor protein)、補体DAF(decay-accelerating factor)、MAC(membrane attack complex)阻害性タンパク質(MAC-IP)、C1阻害剤、アナフィラトキシン阻害剤、C4b結合性タンパク質(C4BP)、クラステリン、ビトロネクチン、またはこれらの変異体もしくは断片から選択され、好ましくは、前記負の補体調節因子が、CFIもしくはFHL1、またはこれらの変異体もしくは断片から選択される、発明22から24のいずれかに記載の使用のための生成物。

10

[発明26]

医薬としての同時的使用、別個の使用、または逐次的使用のための組合せ調製物としての、(i)抗VEGF実体；および(ii)I因子、またはこれをコードするヌクレオチド配列を含む生成物。

[発明27]

加齢黄斑変性(AMD)、糖尿病網膜症、緑内障、スターガルト病、中心性漿液性脈絡網膜症、色素性網膜炎、ポリープ状脈絡膜血管症、糖尿病性黄斑浮腫、網膜静脈分枝閉塞症、またはブドウ膜炎などの補体媒介性眼障害、好ましくは、AMDの処置または防止における使用のための、発明26に記載の使用のための生成物。

20

[発明28]

(i)地図状萎縮の形成が、防止もしくは軽減され、かつ/または地図状萎縮の量が、低減されるか、あるいは地図状萎縮の進行が、緩徐化されるか；

(ii)対象の処置眼への投与後12カ月間にわたり、同じ期間にわたる非処置眼と比べて、少なくとも10%の、地図状萎縮面積の増大の低減がみられるか；あるいは

(iii)前記単離ポリヌクレオチド、ベクター、または医薬組成物の投与が、対象、または対象の網膜色素上皮(RPE)など、対象の眼における、C3b不活化/iC3b分解活性のレベルを、任意選択で対象またはその眼もしくはRPEにおける正常レベルを超えるレベルへと、上昇させる、

30

発明22から27のいずれかに記載の使用のための生成物。

[発明29]

i)新血管形成が、防止もしくは軽減され、ii)血管漏出が、防止もしくは軽減され、かつ/またはiii)網膜浮腫が、防止もしくは軽減される、発明22から28のいずれかに記載の使用のための生成物。

40

50