

【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 3 部門第 2 区分

【発行日】平成 17 年 11 月 10 日 (2005.11.10)

【公表番号】特表 2001-517221(P2001-517221A)

【公表日】平成 13 年 10 月 2 日 (2001.10.2)

【出願番号】特願 平 10-540610

【国際特許分類第 7 版】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 38/43

【F I】

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 37/465

【手続補正書】

【提出日】平成 17 年 3 月 9 日 (2005.3.9)

【手続補正 1】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】補正の内容のとおり

【補正方法】変更

【補正の内容】

手続補正書

平成17年3月9日

特許庁長官 殿

1. 事件の表示

平成10年特許願第540610号

2. 補正をする者

名 称 ザ チルドレンズ ホスピタル オブ フィラデルフィア

3. 代理人

住 所 東京都港区虎ノ門4丁目3番20号
神谷町MTビル19階

電話番号 03 (5425)1800

氏 名 (9109) 弁理士 平木 祐輔



4. 補正対象書類名

請求の範囲

5. 補正対象項目名

請求の範囲

6. 補正の内容

請求の範囲を別紙のとおり補正します。



(別紙)

請求の範囲

1. 少なくとも2つのアデノ関連ウイルス逆方向末端繰り返し配列と、プロモーター／調節配列と、第IX因子をコードし且つ5'および3'非翻訳領域を伴う単離DNAと、転写停止シグナルとを含有する組換えアデノ関連ウイルスベクターを含んでなる組成物。
2. 第IX因子遺伝子のイントロンIの一部をさらに含む、請求項1記載の組成物。
3. 前記第IX因子遺伝子のイントロンIの一部が、約0.3kb～約1.7kbの長さである、請求項2記載の組成物。
4. 前記第IX因子をコードする単離DNAが、コードされた第IX因子をコラーゲンIVに結合できなくする突然変異を有する、請求項1記載の組成物。
5. 前記突然変異DNA中の突然変異が、成熟第IX因子の初めから5番目のアミノ酸位置にあるリジンの代わりにアラニン残基をコードする、請求項4記載の組成物。
6. 薬剤学的に許容される担体をさらに含む、請求項1記載の組成物。
7. 前記プロモーター／調節配列が、サイトメガロウイルス即時型初期プロモーター／エンハンサー、骨格筋アクチンプロモーター、および筋肉クレアチンキナーゼプロモーター／エンハンサーよりなる群から選択される、請求項1記載の組成物。
8. 前記転写停止シグナルがSV40転写停止シグナルである、請求項1記載の組成物。
9. 請求項1記載のベクターを含むキット。
10. 発現制御因子エレメントに作動可能なように結合している第IX因子をコードする核酸を含むアデノ関連ウイルスベクター(rAAV)と薬剤学的に許容される担体とを含んでなる組成物の使用であって、哺乳動物の血友病の治療のための薬剤の製造における、上記使用。
11. 前記組換えアデノ関連ウイルスベクターが、哺乳動物の少なくとも2つの部位に前記ベクターを注入することにより投与される、請求項10記載の使用。
12. 前記組換えアデノ関連ウイルスベクターが、哺乳動物の少なくとも6つの部位に前記ベクターを注入することにより投与される、請求項10記載の使用。
13. 前記組換えアデノ関連ウイルスベクターが、哺乳動物1匹当たり約 1×10^8 ～約 5×10^{16} 個のウイルスベクターゲノムの用量で投与される、請求項10記載の使用。
14. 前記第IX因子がヒト第IX因子である、請求項10記載の使用。
15. 前記発現制御エレメントが、サイトメガロウイルス即時型初期プロモーター／エンハンサー、骨格筋アクチンプロモーター、および筋肉クレアチンキナーゼプロモーター／エンハンサーよりなる群から選択される、請求項10記載の使用。

16. 前記ベクターが第IX因子遺伝子のイントロンIの一部をさらに含む、請求項10記載の使用。
17. 前記第IX因子遺伝子のイントロンIの一部が、約0.3kb～約1.7kbの長さである、請求項16記載の使用。
18. 前記第IX因子をコードする核酸が、突然変異を含まない第IX因子と比較して、コードされた第IX因子のコラーゲンIVへの結合を低下させる突然変異を含む、請求項10記載の使用。
19. 前記突然変異が、成熟第IX因子の初めから5番目のアミノ酸位置にあるリジンの代わりにアラニン残基をコードする、請求項18記載の使用。
20. 前記哺乳動物がヒトである、請求項10記載の使用。
21. 前記投与が哺乳動物の筋肉組織への投与である、請求項11記載の使用。
22. 前記組換えアデノ関連ウイルスベクターがウイルスを含む、請求項1記載の組成物。
23. 前記組換えアデノ関連ウイルスベクターがウイルスを含む、請求項10記載の使用。
24. 前記ウイルスベクターが野生型AAVによって有為に汚染されていない、請求項1記載の組成物。
25. 前記ウイルスベクターが 10^9 個のAAV-第IX因子ゲノムあたりに1個未満しか感染力のある野生型AAVユニットを含まない、請求項24記載の組成物。
26. 前記ウイルスベクターが野生型AAVによって有為に汚染されていない、請求項10記載の使用。
27. 前記ウイルスベクターが 10^9 個のAAV-第IX因子ゲノムあたりに1個未満しか感染力のある野生型AAVユニットを含まない請求項26記載の使用。