

【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】令和 1 年 12 月 19 日 (2019.12.19)

【公表番号】特表 2018-538261 (P2018-538261A)

【公表日】平成 30 年 12 月 27 日 (2018.12.27)

【年通号数】公開・登録公報 2018-050

【出願番号】特願 2018-524411 (P2018-524411)

【国際特許分類】

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

A 6 1 P 21/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/122 (2006.01)

A 6 1 K 31/385 (2006.01)

A 6 1 K 31/355 (2006.01)

A 6 1 P 39/06 (2006.01)

A 6 1 P 17/18 (2006.01)

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 5/077 (2010.01)

【 F I 】

A 6 1 K 48/00 Z N A

A 6 1 P 21/04

A 6 1 P 21/00

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 43/00 1 2 1

A 6 1 K 31/122

A 6 1 K 31/385

A 6 1 K 31/355

A 6 1 P 39/06

A 6 1 P 17/18

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/113 1 4 0 Z

C 1 2 N 5/077

【手続補正書】

【提出日】令和 1 年 11 月 11 日 (2019.11.11)

【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

【補正の内容】

【特許請求の範囲】**【請求項 1】**

必要としている対象における筋ジストロフィーまたは慢性筋肉消耗を治療するために製剤化された、組換え A A V ベクターの治療有効量を含む組成物であって、前記組換え A A V ベクターが、1) 配列番号 1 の核酸配列と少なくとも 85 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む、組成物。

【請求項 2】

必要としている対象における筋肉を再生するために製剤化された、組換え A A V ベクターを含む組成物であって、前記組換え A A V ベクターが、1) 配列番号 1 と少なくとも 85 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性をそれを必要とする対象に呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む、組成物。

【請求項 3】

必要としている対象における筋ジストロフィーもしくは慢性筋肉消耗を治療するため、または筋肉を再生するために製剤化された、組換え A A V ベクターの治療有効量を含む組成物であって、前記組換え A A V ベクターが、配列番号 2 と少なくとも 95 % 同一の A N O 5 タンパク質をコードするポリヌクレオチドを含む、組成物。

【請求項 4】

前記組換え A A V が、配列番号 1 のポリヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 5】

前記組換え A A V ベクターが、筋肉特異的制御要素に作動可能に連結されたポリヌクレオチドを含む、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 6】

前記対象が、筋ジストロフィーに罹患している、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 7】

前記対象が、A N O 5 遺伝子に劣性変異を有する、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 8】

筋肉内または静脈内注射用に製剤化される、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 9】

抗酸化剤組成物の治療有効量をさらに含む、請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 10】

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 10、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも 1 つを含む、請求項 9 に記載の組成物。

【請求項 11】

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 10、リボ酸、及びビタミン E を含む、請求項 9 または 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

前記対象が、ジスフェルリン関連筋ジストロフィー、肢帯型筋ジストロフィー 2 L、または三好型ミオパチー 3、ベスレムミオパチー、カルバイノパチー、デスミンミオパチー、ジスフェルリノパチー、筋細線維ミオパチー、サルコグリカノパチー、または Z A S P 関連ミオパチーに罹患している、請求項 1 ~ 11 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 13】

前記組成物の投与が、前記対象の骨格筋における酸化ストレスを低減した、請求項 1 ~ 1 2 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 4】

前記組成物の投与が、前記対象の骨格筋機能を改善する、請求項 1 ~ 1 3 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 5】

前記対象が、A N O 5 遺伝子に劣性変異を有する、請求項 1 ~ 1 4 のいずれか一項に記載の組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 0 3 5

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 0 3 5】

いくつかの実施形態では、抗酸化剤組成物は、経口投与される。いくつかの態様では、抗酸化剤は、同じ組成物中にある。他の態様では、抗酸化剤は、別個の組成物中にある。いくつかの態様では、抗酸化剤組成物の抗酸化剤は、同時に投与される。いくつかの態様では、抗酸化剤組成物の抗酸化剤は、別個の時点で、または連続して投与される。いくつかの実施形態では、抗酸化剤組成物は、1 日 1 回、1 週間に 1 回、1 週間に 2 回、2 週間に 1 回、3 週間に 1 回、1 ヶ月に 1 回、または 2 ヶ月に 1 回投与される。

特定の実施形態では、例えば、以下が提供される：

(項目 1)

筋ジストロフィーを治療する方法であって、1) 配列番号 1 の核酸配列と少なくとも 8 5 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む組換え A A V ベクターの治療有効量を、それを必要とする対象に投与することを含む、方法。

(項目 2)

必要としている対象における筋肉を再生する方法であって、1) 配列番号 1 の核酸配列と少なくとも 8 5 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む組換え A A V ベクターを、筋肉を再生するのに有効な量で前記対象に投与することを含む、方法。

(項目 3)

慢性筋肉消耗を治療する方法であって、1) 配列番号 1 と少なくとも 8 5 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む組換え A A V ベクターの治療有効量を、それを必要とする対象に投与することを含む、方法。

(項目 4)

前記組換え A A V が、配列番号 1 のポリヌクレオチド配列を含む、項目 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 5)

前記組換え A A V ベクターが、A A V 1、A A V 2、A A V 4、A A V 5、A A V 6、A A V 7、A A V 8、A A V 9、A A V 1 0、A A V 1 1、A A V 1 2、A A V 1 3、または A A V r h . 7 4 である、項目 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 6)

前記組換え A A V ベクターが、筋肉特異的制御要素に作動可能に連結されたポリヌクレオチドを含む、項目 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 7)

前記筋肉特異的制御要素が、ヒト骨格アクチン遺伝子要素、心臓アクチン遺伝子要素、筋細胞特異的エンハンサー結合因子MEF、マウスクレアチンキナーゼエンハンサー要素、骨格速筋トロポニンC遺伝子要素、遅筋心臓トロポニンC遺伝子要素、遅筋トロポニンI遺伝子要素、低酸素誘導性核因子、ステロイド誘導性要素、またはグルココルチコイド応答要素(GRE)である、項目6に記載の方法。

(項目8)

前記対象が、筋ジストロフィーに罹患している、項目2～7のいずれか一項に記載の方法。

(項目9)

前記筋ジストロフィーが、ジスフェルリン関連筋ジストロフィー、肢帯型筋ジストロフィー2L、または三好型ミオパチー3、ベスレムミオパチー、カルパインパチー、デスミンミオパチー、ジスフェルリノパチー、筋細線維ミオパチー、サルコグリカノパチー、またはZASP関連ミオパチーである、項目1～8のいずれか一項に記載の方法。

(項目10)

前記対象が、ANO5遺伝子に劣性変異を有する、項目1～9のいずれか一項に記載の方法。

(項目11)

前記組換えAAVベクターが、筋肉内または静脈内注射により投与される、項目1～10のいずれか一項に記載の方法。

(項目12)

抗酸化剤組成物の治療有効量を、それを必要とする対象に投与するステップをさらに含む、項目1～11のいずれか一項に記載の方法。

(項目13)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素Q10、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも1つを含む、項目12に記載の方法。

(項目14)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素Q10、リボ酸、及びビタミンEを含む、項目12または13に記載の方法。

(項目15)

筋ジストロフィーを治療する方法であって、抗酸化剤組成物の治療有効量を、それを必要とする対象に投与することを含む、方法。

(項目16)

慢性筋肉消耗を治療する方法であって、抗酸化剤組成物の治療有効量を、それを必要とする対象に投与することを含む、方法。

(項目17)

筋ジストロフィーの進行を遅延させる方法であって、抗酸化剤組成物の治療有効量を、それを必要とする対象に投与することを含む、方法。

(項目18)

慢性筋肉消耗の進行を遅延させる方法であって、抗酸化剤組成物の治療有効量を、それを必要とする対象に投与することを含む、方法。

(項目19)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素Q10、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも1つを含む、項目15～18のいずれか一項に記載の方法。

(項目20)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素Q10、リボ酸、及びビタミンEを含む、項目15～19のいずれか一項に記載の方法。

(項目21)

筋ジストロフィーが、ジスフェルリン関連筋ジストロフィー、肢帯型筋ジストロフィー

2 L、または三好型ミオパチー 3、ベスレムミオパチー、カルパインパチー、デスミンミオパチー、ジスフェルリノパチー、筋細線維ミオパチー、サルコグリカノパチー、または Z A S P 関連ミオパチーである、項目 1 5 ~ 2 0 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 2)

酸化ストレスが、前記対象の骨格筋において低減される、項目 1 5 ~ 2 1 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 3)

前記対象の骨格筋機能が改善される、項目 1 5 ~ 2 1 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 4)

前記対象が、A N O 5 遺伝子に劣性変異を有する、項目 1 5 ~ 2 1 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 5)

前記抗酸化剤組成物が経口投与される、項目 1 2 ~ 2 5 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 6)

前記抗酸化剤が、同じ組成物中にある、項目 1 2 ~ 2 5 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 7)

前記抗酸化剤が、別個の組成物中にある、項目 1 2 ~ 2 5 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 8)

前記抗酸化剤組成物の前記抗酸化剤が同時に投与される、項目 1 2 ~ 2 5 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 2 9)

前記抗酸化剤組成物の前記抗酸化剤が、別個の時点で、または連続して投与される、項目 1 2 ~ 2 5 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 3 0)

前記抗酸化剤組成物が、1 日 1 回、1 週間に 1 回、1 週間に 2 回、2 週間に 1 回、3 週間に 1 回、1 ヶ月に 1 回、または 2 ヶ月に 1 回投与される、項目 1 2 ~ 2 9 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 3 1)

必要としている対象における筋ジストロフィーの治療のための、組換え A A V ベクターの治療有効量を含む組成物であって、前記組換え A A V ベクターが、1) 配列番号 1 の核酸配列と少なくとも 8 5 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む、組成物。

(項目 3 2)

必要としている対象における筋肉の再生のための、組換え A A V ベクターを含む組成物であって、前記組換え A A V ベクターが、1) 配列番号 1 と少なくとも 8 5 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性をそれを必要とする対象に呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む、組成物。

(項目 3 3)

必要としている対象における慢性筋肉消耗の治療のための、組換え A A V ベクターの治療有効量を含む組成物であって、前記組換え A A V ベクターが、1) 配列番号 1 の核酸配列と少なくとも 8 5 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む、組成物。

(項目 3 4)

前記組換え A A V が、配列番号 1 のポリヌクレオチド配列を含む、項目 3 1 ~ 3 3 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 3 5)

前記組換え A A V ベクターが、A A V 1、A A V 2、A A V 4、A A V 5、A A V 6、A A V 7、A A V 8、A A V 9、A A V 10、A A V 11、A A V 12、A A V 13、または A A V r h . 7 4 である、項目 3 1 ~ 3 4 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 3 6)

前記組換え A A V ベクターが、筋肉特異的制御要素に作動可能に連結されたポリヌクレオチドを含む、項目 3 1 ~ 3 5 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 3 7)

前記筋肉特異的制御要素が、ヒト骨格アクチン遺伝子要素、心臓アクチン遺伝子要素、筋細胞特異的エンハンサー結合因子 M E F、マウスクレアチンキナーゼエンハンサー要素、骨格速筋トロポニン C 遺伝子要素、遅筋心臓トロポニン C 遺伝子要素、遅筋トロポニン I 遺伝子要素、低酸素誘導性核因子、ステロイド誘導性要素、またはグルココルチコイド応答要素 (G R E) である、項目 3 6 に記載の組成物。

(項目 3 8)

前記対象が、筋ジストロフィーに罹患している、項目 3 1 ~ 3 7 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 3 9)

前記筋ジストロフィーが、ジスフェルリン関連筋ジストロフィー、肢帯型筋ジストロフィー 2 L、または三好型ミオパチー 3、ベスレムミオパチー、カルパインパチー、デスミンミオパチー、ジスフェルリノパチー、筋細線維ミオパチー、サルコグリカノパチー、または Z A S P 関連ミオパチーである、項目 3 1 ~ 3 9 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 4 0)

前記対象が、A N O 5 遺伝子に劣性変異を有する、項目 3 1 ~ 3 9 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 4 1)

筋肉内または静脈内注射用に製剤化される、項目 3 1 ~ 4 0 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 4 2)

抗酸化剤組成物の治療有効量をさらに含む、項目 3 1 ~ 4 1 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 4 3)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 1 0、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも 1 つを含む、項目 4 2 に記載の組成物。

(項目 4 4)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 1 0、リボ酸、及びビタミン E を含む、項目 4 2 または 4 3 に記載の組成物。

(項目 4 5)

必要としている対象における筋ジストロフィーの治療のための、抗酸化剤組成物の治療有効量を含む組成物。

(項目 4 6)

必要としている対象における慢性筋肉消耗の治療のための、抗酸化剤組成物の治療有効量を含む組成物。

(項目 4 7)

必要としている対象における筋ジストロフィーの進行の遅延のための、抗酸化剤組成物の治療有効量を含む組成物。

(項目 4 8)

必要としている対象における慢性筋肉消耗の進行の遅延のための、抗酸化剤組成物の治療有効量を含む組成物。

(項目 4 9)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 1 0、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補

因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも1つを含む、項目45～48のいずれか一項に記載の組成物。

(項目50)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素Q10、リポ酸、及びビタミンEを含む、項目45～49のいずれか一項に記載の組成物。

(項目51)

筋ジストロフィーが、ジスフェルリン関連筋ジストロフィー、肢帯型筋ジストロフィー2L、または三好型ミオパチー3、ベスレムミオパチー、カルパインパチー、デスミンミオパチー、ジスフェルリンパチー、筋細線維ミオパチー、サルコグリカノパチー、またはZASP関連ミオパチーである、項目45～50のいずれか一項に記載の組成物。

(項目52)

酸化ストレスが、前記対象の骨格筋において低減される、項目45～51のいずれか一項に記載の組成物。

(項目53)

前記対象の骨格筋機能が改善される、項目45～51のいずれか一項に記載の組成物。

(項目54)

前記対象が、ANO5遺伝子に劣性変異を有する、項目45～51のいずれか一項に記載の組成物。

(項目55)

経口投与用に製剤化される、項目42～54のいずれか一項に記載の組成物。

(項目56)

前記薬剤が、同じ組成物中にある、項目42～55のいずれか一項に記載の組成物。

(項目57)

前記薬剤が、別個の組成物中にある、項目42～55のいずれか一項に記載の組成物。

(項目58)

前記抗酸化剤組成物の前記抗酸化剤が同時に投与される、項目42～55のいずれか一項に記載の組成物。

(項目59)

前記抗酸化剤組成物の前記抗酸化剤が、別個の時点で、または連続して投与される、項目42～55のいずれか一項に記載の組成物。

(項目60)

前記抗酸化剤組成物が、1日1回、1週間に1回、1週間に2回、2週間に1回、3週間に1回、1ヶ月に1回、または2ヶ月に1回投与される、項目45～59のいずれか一項に記載の組成物。

(項目61)

筋ジストロフィーの治療を必要とする対象における筋ジストロフィーの治療用の薬剤の調製のための組換えAAVベクターの使用であって、前記組換えAAVベクターが、1)配列番号1の核酸配列と少なくとも85%同一の核酸配列、2)ストリンジェントな条件下で配列番号1のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または3)ANO5活性を呈するタンパク質をコードする配列番号1の核酸の断片を含む、使用。

(項目62)

筋肉の再生を必要とする対象における筋肉の再生用の薬剤の調製のための組換えAAVベクターの使用であって、前記組換えAAVベクターが、1)配列番号1の核酸配列と少なくとも85%同一の核酸配列、2)ストリンジェントな条件下で配列番号1のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または3)ANO5活性を呈するタンパク質をコードする配列番号1の核酸の断片を含む、使用。

(項目63)

慢性筋肉消耗症候群の治療用の薬剤の調製のための組換えAAVベクターの使用であって、前記組換えAAVベクターが、1)配列番号1の核酸配列と少なくとも85%同一の核酸配列、2)ストリンジェントな条件下で配列番号1のヌクレオチド配列にハイブリダ

イズするヌクレオチド、または3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号1の核酸の断片を含む、使用。

(項目64)

前記組換えA A Vが、配列番号1のポリヌクレオチド配列を含む、項目61～63のいずれか一項に記載の使用。

(項目65)

前記組換えA A Vベクターが、A A V 1、A A V 2、A A V 4、A A V 5、A A V 6、A A V 7、A A V 8、A A V 9、A A V 10、A A V 11、A A V 12、A A V 13、またはA A V r h . 74である、項目61～63のいずれか一項に記載の使用。

(項目66)

前記組換えA A Vベクターが、筋肉特異的制御要素に作動可能に連結されたポリヌクレオチドを含む、項目61～65のいずれか一項に記載の使用。

(項目67)

前記筋肉特異的制御要素が、ヒト骨格アクチン遺伝子要素、心臓アクチン遺伝子要素、筋細胞特異的エンハンサー結合因子M E F、マウスクレアチンキナーゼエンハンサー要素、骨格速筋トロポニンC遺伝子要素、遅筋心臓トロポニンC遺伝子要素、遅筋トロポニンI遺伝子要素、低酸素誘導性核因子、ステロイド誘導性要素、またはグルココルチコイド応答要素(G R E)である、項目66に記載の使用。

(項目68)

前記対象が、筋ジストロフィーに罹患している、項目61～67に記載の使用。

(項目69)

前記対象が、ジスフェルリン関連筋ジストロフィー、肢帯型筋ジストロフィー2L、または三好型ミオパチー3、ベスレムミオパチー、カルパインパチー、デスミンミオパチー、ジスフェルリノパチー、筋細線維ミオパチー、サルコグリカノパチー、またはZ A S P関連ミオパチーに罹患している、項目61～68のいずれか一項に記載の使用。

(項目70)

前記対象が、A N O 5 遺伝子に劣性変異を有する、項目61～69のいずれか一項に記載の使用。

(項目71)

前記薬剤が、筋肉内または静脈内注射用に製剤化される、項目61～70のいずれか一項に記載の使用。

(項目72)

抗酸化剤組成物の治療有効量を必要とする対象に対する、抗酸化剤組成物の治療有効量をさらに含む、項目61～71のいずれか一項に記載の使用。

(項目73)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素Q10、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも1つを含む、項目72に記載の使用。

(項目74)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素Q10、リボ酸、及びビタミンEを含む、項目72または73に記載の使用。

(項目75)

必要としている対象における筋ジストロフィーの治療用の薬剤の調製のための、抗酸化剤組成物の治療有効量の使用。

(項目76)

慢性筋肉消耗症候群の治療用の薬剤の調製のための、抗酸化剤組成物の治療有効量の使用。

(項目77)

必要としている対象における筋ジストロフィーの進行の遅延用の薬剤の調製のための、抗酸化剤組成物の治療有効量の使用。

(項目 7 8)

必要としている対象における慢性筋肉消耗症候群の進行の遅延用の薬剤の調製のための、抗酸化剤組成物の治療有効量の使用。

(項目 7 9)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 1 0、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも 1 つを含む、項目 7 5 ~ 7 8 のいずれか一項に記載の使用。

(項目 8 0)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 1 0、リボ酸、及びビタミン E を含む、項目 7 5 ~ 7 9 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 8 1)

前記対象が、ジスフェルリン関連筋ジストロフィー、肢帯型筋ジストロフィー 2 L、または三好型ミオパチー 3、ベスレムミオパチー、カルパインパチー、デスミンミオパチー、ジスフェルリノパチー、筋細線維ミオパチー、サルコグリカノパチー、または Z A S P 関連ミオパチーに罹患している、項目 7 5 ~ 8 0 のいずれか一項に記載の使用。

(項目 8 2)

酸化ストレスが、前記対象の骨格筋において低減される、項目 7 5 ~ 8 1 のいずれか一項に記載の使用。

(項目 8 3)

前記対象の骨格筋機能が改善される、項目 7 5 ~ 8 1 のいずれか一項に記載の使用。

(項目 8 4)

前記対象が、A N O 5 遺伝子に劣性変異を有する、項目 7 5 ~ 8 1 のいずれか一項に記載の使用。

(項目 8 5)

前記薬剤が、経口投与用に製剤化される、項目 5 5 ~ 8 4 のいずれか一項に記載の使用。

(項目 8 6)

1) 配列番号 1 の核酸配列と少なくとも 8 5 % 同一の核酸配列、2) ストリンジェントな条件下で配列番号 1 のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド、または 3) A N O 5 活性を呈するタンパク質をコードする配列番号 1 の核酸の断片を含む組換え A A V ベクターの治療有効量を、それを必要とする対象に、抗酸化剤組成物の治療有効量と組み合わせて投与することをさらに含む、項目 1 5 ~ 3 0 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 8 7)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 1 0、リボ酸、ビタミン、カロテノイド、ビタミン補因子、鉱物、ポリフェノール、またはフラボノイドのうちの少なくとも 1 つを含む、項目 8 6 に記載の方法。

(項目 8 8)

前記抗酸化剤組成物が、補酵素 Q 1 0、リボ酸、及びビタミン E を含む、項目 8 6 または 8 7 に記載の方法。

(項目 8 9)

前記組換え A A V ベクターが、配列番号 1 のポリヌクレオチド配列を含む、項目 8 6 ~ 8 8 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 0)

前記組換え A A V ベクターが、A A V 1、A A V 2、A A V 4、A A V 5、A A V 6、A A V 7、A A V 8、A A V 9、A A V 1 0、A A V 1 1、A A V 1 2、A A V 1 3、または A A V r h . 7 4 である、項目 8 6 ~ 8 9 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 1)

前記組換え A A V ベクターが、筋肉内または静脈内注射により投与される、項目 8 6 ~ 8 9 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 2)

前記抗酸化剤組成物が経口投与される、項目 8 6 ~ 9 1 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 3)

前記組換え A A V ベクター及び前記抗酸化剤組成物が、同じ組成物中にある、項目 8 6 ~ 9 1 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 4)

前記組換え A A V ベクター及び前記抗酸化剤組成物が、別個の組成物中にある、項目 8 6 ~ 9 2 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 5)

前記組換え A A V ベクター及び前記抗酸化剤組成物が同時に投与される、項目 8 6 ~ 9 2 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 6)

前記組換え A A V ベクター及び前記抗酸化剤組成物が、別個の時点で、または連続して投与される、項目 8 6 ~ 9 2 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 9 7)

前記組換え A A V ベクター及び前記抗酸化剤組成物が、1 日 1 回、1 週間に 1 回、1 週間に 2 回、2 週間に 1 回、3 週間に 1 回、1 ヶ月に 1 回、または 2 ヶ月に 1 回投与される、項目 8 6 ~ 9 6 のいずれか一項に記載の方法。