【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6年9月11日(2024.9.11)

【国際公開番号】WO2022/055791
【公表番号】特表2023-540095(P2023-540095A)
【公表日】令和5年9月21日(2023.9.21)
【年通号数】公開公報(特許)2023-178
【出願番号】特願2023-514417(P2023-514417)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ 48/00(2006.01)
Ａ６１Ｐ 21/00(2006.01)
Ａ６１Ｋ 35/76(2015.01)
Ａ６１Ｋ 47/02(2006.01)
Ａ６１Ｋ 47/12(2006.01)
Ａ６１Ｋ 47/18(2017.01)
Ａ６１Ｋ 47/10(2017.01)
Ａ６１Ｋ 9/08(2006.01)
Ａ６１Ｐ 43/00(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/864(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 5/10(2006.01)
Ｃ１２Ｑ 1/6876(2018.01)
Ｃ１２Ｑ 1/686(2018.01)
Ｃ１２Ｑ 1/6869(2018.01)
Ｃ１２Ｎ 15/12(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ 48/00
Ａ６１Ｐ 21/00 ＺＮＡ
Ａ６１Ｋ 35/76
Ａ６１Ｋ 47/02
Ａ６１Ｋ 47/12
Ａ６１Ｋ 47/18
Ａ６１Ｋ 47/10
Ａ６１Ｋ 9/08
Ａ６１Ｐ 43/00 １１１
Ｃ１２Ｎ 15/8641００Ｚ
Ｃ１２Ｎ 5/10
Ｃ１２Ｑ 1/6876 Ｚ
Ｃ１２Ｑ 1/686
Ｃ１２Ｑ 1/6869 Ｚ
Ｃ１２Ｎ 15/12

【手続補正書】
【提出日】令和6年9月2日(2024.9.2)
【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】
組換えアデノ随伴ウイルス（ｒＡＡＶ）ｓｃＡＡＶｒｈ７４．ＭＨＣＫ７．ｈＳＧＣＧを含む、それを必要とする対象において筋ジストロフィーを治療するための組成物であって、
前記ｒＡＡＶが、全身投与経路を使用し、定量標準としての直線化プラスミドに基づき約２×１０^{12}ｖｇ／ｋｇ～約５．０×１０^{14}ｖｇ／ｋｇの用量で投与され；前記対象における血清クレアチンキナーゼ（ＣＫ）レベルが、前記ｒＡＡＶの投与前の血清ＣＫレベルと比較して、前記ｒＡＡＶの投与後に減少する、組成物。
【請求項２】
前記ｒＡＡＶが、静脈内経路を使用して投与される、請求項１に記載の組成物。
【請求項３】
前記ｒＡＡＶが、定量標準としての直線化プラスミドに基づき４．６３×１０^{12}ｖｇ／ｋｇ、約１．８５×１０^{13}ｖｇ／ｋｇもしくは７．４１×１０^{13}ｖｇ／ｋｇまたは定量標準としてのスーパーコイルプラスミドに基づき約１．２５×１０^{13}ｖｇ／ｋｇ、約５．０×１０^{13}ｖｇ／ｋｇもしくは約２．０×１０^{14}ｖｇ／ｋｇで投与される、請求項１に記載の組成物。
【請求項４】
前記ｒＡＡＶが、配列番号１または配列番号７に対して少なくとも９０％、９５％、または９９％同一であるヌクレオチド配列を含む、請求項１に記載の組成物。
【請求項５】
前記筋ジストロフィーが、肢帯型筋ジストロフィーである、請求項１に記載の組成物。
【請求項６】
ガンマ－サルコグリカンタンパク質の発現のレベルが、ｒＡＡＶの投与後に、ｒＡＡＶの投与前のガンマ－サルコグリカンタンパク質のレベルと比較して、少なくとも３０、３１、３２、３３、３４、３５、３６、３７、３８、３９、または４０％増加される、請求項３に記載の組成物。
【請求項７】
前記対象の筋組織におけるガンマ－サルコグリカン陽性線維の数が、ｒＡＡＶの投与前のガンマ－サルコグリカン陽性線維の数と比較して、ｒＡＡＶの投与後に少なくとも４０、４１、または４２％増加される、請求項１に記載の組成物。
【請求項８】
前記対象における血清ＣＫレベルが、ｒＡＡＶの投与前の血清ＣＫレベルと比較して、ｒＡＡＶの投与の６０日～９０日、６０日、または９０日後までに少なくとも８２、８３、８４、８５、８６、８７、８８、８９、または９０％減少する、請求項１に記載の組成物。
【請求項９】
前記対象におけるアルファ－サルコグリカンおよび／またはベーター－サルコグリカンのレベルが、ｒＡＡＶの投与前のアルファ－サルコグリカンのレベルと比較して、前記ｒＡＡＶの投与後に増加される、請求項１に記載の組成物。
【請求項１０】
ｒＡＡＶ　ｓｃＡＡＶｒｈ７４．ＭＨＣＫ７．ｈＳＧＣＧベクター、
緩衝剤、
イオン強度剤；および
約０．００００１％～約１％の濃度のポロキサマーを含む界面活性剤
を含む、組成物。
【請求項１１】
前記ｒＡＡＶが、約１．０×１０^{12}ｖｇ／ｍｌ～約５．０×１０^{14}ｖｇ／ｍｌ、または約５．０×１０^{12}ｖｇ／ｍｌ～約１．０×１０^{14}ｖｇ／ｍｌの濃度である、請求項１０に記載の組成物。
【請求項１２】

前記緩衝剤が、トリス、トリシン、ビストリシン、ＨＥＰＥＳ、ＭＯＰＳ、ＴＥＳ、ＴＡＰＳ、ＰＩＰＥＳ、およびＣＡＰＳのうちの一つまたは複数を含む、請求項１０に記載の組成物。

【請求項１３】

前記緩衝剤が、約５ｍＭ～約４０ｍＭの濃度のｐＨ８．０を有するトリスを含む、請求項１２に記載の組成物。

【請求項１４】

前記イオン強度剤が、塩化カリウム（ＫＣｌ）、酢酸カリウム、硫酸カリウム、硫酸アンモニウム、塩化アンモニウム（NH_4Cl）、酢酸アンモニウム、塩化マグネシウム（$MgCl_2$）、酢酸マグネシウム、硫酸マグネシウム、塩化マンガン（$MnCl_2$）、酢酸マンガン、硫酸マンガン、塩化ナトリウム（ＮａＣｌ）、酢酸ナトリウム、塩化リチウム（ＬｉＣｌ）、または酢酸リチウムのうちの一つまたは複数を含む、請求項１０に記載の組成物。

【請求項１５】

前記イオン強度剤が、約０．２ｍＭ～約４ｍＭの濃度の$MgCl_2$を含む、請求項１０に記載の組成物。

【請求項１６】

前記イオン強度剤が、約５０ｍＭ～約５００ｍＭの濃度のＮａＣｌを含む、請求項１０に記載の組成物。

【請求項１７】

前記イオン強度剤が、約０．２ｍＭ～約４ｍＭの濃度の$MgCl_2$および約５０ｍＭ～約５００ｍＭの濃度のＮａＣｌを含む、請求項１０に記載の組成物。

【請求項１８】

前記ｓｃＡＡＶｒｈ７４．ＭＨＣＫ７．ｈＳＧＣＧベクターが、配列番号７のヌクレオチド配列を含む、請求項１０に記載の組成物。

【請求項１９】

組換えＡＡＶ　ｓｃＡＡＶｒｈ７４．ＭＨＣＫ７．ｈＳＧＣＧを作製する方法であって、プラスミドを細胞に導入することを含み、前記プラスミドが、配列番号８に対して少なくとも９０％、９５％、または９９％同一であるヌクレオチド配列を含む、方法。

【請求項２０】

前記プラスミドが、配列番号８のヌクレオチド配列を含む、請求項１９に記載の方法。

【請求項２１】

配列番号８に対して少なくとも９０％、９５％、または９９％同一であるヌクレオチド配列を含むプラスミドを含む、細胞。

【請求項２２】

前記プラスミドが、配列番号８のヌクレオチド配列を含む、請求項２１に記載の細胞。

【請求項２３】

前記細胞が、昆虫細胞、蚊細胞、または哺乳類細胞である、請求項２１または２２に記載の細胞。