

【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2年5月14日(2020.5.14)

【公表番号】特表2019-513399(P2019-513399A)

【公表日】令和1年5月30日(2019.5.30)

【年通号数】公開・登録公報2019-020

【出願番号】特願2018-554055(P2018-554055)

【国際特許分類】

C 1 2 N	15/864	(2006.01)
A 6 1 K	38/02	(2006.01)
A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 K	35/761	(2015.01)
A 6 1 P	21/02	(2006.01)
A 6 1 P	21/00	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	9/08	(2006.01)
A 6 1 P	11/00	(2006.01)

【F I】

C 1 2 N	15/864	1 0 0 Z
A 6 1 K	38/02	Z N A
A 6 1 K	48/00	
A 6 1 K	35/761	
A 6 1 P	21/02	
A 6 1 P	21/00	
A 6 1 P	43/00	1 0 5
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 K	9/08	
A 6 1 P	11/00	

【手続補正書】

【提出日】令和2年3月31日(2020.3.31)

【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】

配列番号1と少なくとも95%同一のヌクレオチド配列を含むポリヌクレオチド配列を含む組換えAAVベクター。

【請求項2】

配列番号2と少なくとも95%同一であるポリペプチドをコードするポリヌクレオチド配列を含む組換えAAVベクター。

【請求項3】

前記ポリヌクレオチド配列が、配列番号1に記載のヌクレオチド配列を含む、請求項1または2に記載の組換えAAVベクター。

【請求項4】

前記ポリヌクレオチド配列が、配列番号2に記載のアミノ酸配列をコードする、請求項1～3のいずれか一項に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 5】**

前記ベクターが、血清型 AAV1、AAV2、AAV4、AAV5、AAV6、AAV7、AAV8、AAV9、AAV10、AAV11、AAV12、AAV13、または AAV r h . 74 である、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 6】**

前記ポリヌクレオチド配列が、筋特異的制御要素を含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 7】**

前記筋特異的制御要素が、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 、筋クレアチンキナーゼ ( MCK ) 、短縮 MCK ( t MCK ) 、ミオシン重鎖 ( MHC ) 、MHC K7、C5 - 12 、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、低酸素誘発性核因子応答要素、ステロイド誘発性要素、またはグルココルチコイド応答要素 ( gre ) である、請求項 6 に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 8】**

前記筋特異的制御要素が、短縮 MCK ( t MCK ) プロモーター である、請求項 6 に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 9】**

前記短縮 MCK ( t MCK ) プロモーター が、配列番号 6 に記載のヌクレオチド配列を含む、請求項 8 に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 10】**

前記筋特異的制御要素が、MHC K7 プロモーター である、請求項 6 に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 11】**

前記 MHC K7 プロモーター が、配列番号 4 に記載のヌクレオチド配列を含む、請求項 10 に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 12】**

配列番号 3 と少なくとも 95 % 同一であるヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 13】**

配列番号 3 と少なくとも 99 % 同一であるヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 14】**

配列番号 3 に記載のヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 7 のいずれかに記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 15】**

配列番号 5 に記載のヌクレオチド配列を含む、請求項 1 ~ 7 のいずれかに記載の組換えAAVベクター。

**【請求項 16】**

請求項 1 ~ 15 のいずれか一項に記載の前記組換えAAVベクターを含む、組成物。

**【請求項 17】**

治療有効量の請求項 1 ~ 15 のいずれか一項に記載の組換えAAVベクターまたは請求項 16 に記載の組成物を含む、対象における筋ジストロフィーを治療するための組成物。

**【請求項 18】**

治療有効量の請求項 1 ~ 15 のいずれか一項に記載の組換えAAVベクターまたは請求項 16 に記載の組成物を含む、筋ジストロフィーに罹患している哺乳類の対象における筋力及び / または筋量を増加するため、線維症を軽減するためまたは収縮誘発性傷害を軽減するための組成物。

**【請求項 19】**

治療有効量の請求項 1 ~ 15 のいずれか一項に記載の組換え AAV ベクターまたは請求項 16 に記載の組成物を含む、対象における - サルコグリカン異常症を治療するための組成物。

【請求項 20】

前記筋ジストロフィーが、肢帶筋ジストロフィーである、請求項 17 ~ 19 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 21】

前記組換え AAV ベクターまたは前記組成物が、筋肉内注射または静脈内注射のために製剤化されている、請求項 17 ~ 20 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 22】

前記組換え AAV ベクターまたは前記組成物が、全身投与のために製剤化されている、請求項 17 ~ 21 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 23】

前記組換え AAV ベクターまたは前記組成物が、注射、注入、または移植による非経口投与のために製剤化されている、請求項 22 に記載の組成物。

【請求項 24】

m i R 29 C を含むポリヌクレオチド配列を含む第 2 の組換え AAV ベクターを投与することをさらに含む、請求項 17 ~ 23 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 25】

前記第 2 の組換えベクターが、配列番号 9 に記載の前記ヌクレオチド配列または配列番号 8 に記載の前記ヌクレオチド配列を含む、請求項 24 に記載の組成物。

【請求項 26】

前記第 2 の組換え AAV ベクターが、筋肉内注射または静脈内注射により投与される、請求項 24 または 25 に記載の組成物。

【請求項 27】

それを必要とする哺乳類の対象における筋ジストロフィーのため、線維症を軽減するため、筋力及び / または筋量を増加するため、収縮誘発性傷害を軽減するため、および / または - サルコグリカン異常症を治療するための薬剤の調製における、請求項 1 ~ 15 のいずれか一項に記載の組換え AAV ベクターまたは請求項 16 に記載の組成物の使用。

【請求項 28】

前記筋ジストロフィーが、肢帶筋ジストロフィー 2E 型 ( L G M D 2 E ) である、請求項 27 に記載の使用。