

【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 A A V 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 A A V 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 A A V 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 A A V ベクター。

【請求項 5】

前記ベクターが、血清型 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、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の組換え A A V 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 A A V 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 (M C K)、短縮 M C K (t M C K)、ミオシン重鎖 (M H C)、M H C K 7、C 5 - 1 2、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 (g r e) である、請求項 6 に記載の組換え A A V ベクター。

【請求項 8】

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

【請求項 9】

前記短縮 M C K (t M C K) 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 A A V ベクター。

【請求項 10】

前記筋特異的制御要素が、M H C K 7 プロモーターである、請求項 6 に記載の組換え A A V ベクター。

【請求項 11】

前記 M H C K 7 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 A A V ベクター。

【請求項 12】

配列番号 3 と少なくとも 9 5 % 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 A A V ベクター。

【請求項 13】

配列番号 3 と少なくとも 9 9 % 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 A A V 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 A A V 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 A A V ベクター。

【請求項 16】

請求項 1 ~ 1 5 のいずれか一項に記載の前記組換え A A V ベクターを含む、組成物。

【請求項 17】

治療有効量の請求項 1 ~ 1 5 のいずれか一項に記載の組換え A A V ベクターまたは請求項 1 6 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 ~ 1 5 のいずれか一項に記載の組換え A A V ベクターまたは請求項 1 6 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 ~ 1 5 のいずれか一項に記載の組換え A A V ベクターまたは請求項 1 6 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 2 0】

前記筋ジストロフィーが、肢帯筋ジストロフィーである、請求項 1 7 ~ 1 9 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 2 1】

前記組換え A A V 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 1 7 ~ 2 0 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 2 2】

前記組換え A A V 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 1 7 ~ 2 1 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 2 3】

前記組換え A A V 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 2 2 に記載の組成物。

【請求項 2 4】

m i R 2 9 C を含むポリヌクレオチド配列を含む第 2 の組換え A A V ベクターを投与することをさらに含む、請求項 1 7 ~ 2 3 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 2 5】

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 2 4 に記載の組成物。

【請求項 2 6】

前記第 2 の組換え A A V 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 2 4 または 2 5 に記載の組成物。

【請求項 2 7】

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 ~ 1 5 のいずれか一項に記載の組換え A A V ベクターまたは請求項 1 6 に記載の組成物の使用。

【請求項 2 8】

前記筋ジストロフィーが、肢帯筋ジストロフィー 2 E 型 (L G M D 2 E) である、請求項 2 7 に記載の使用。