【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5月23日(2019.5.23)

【公表番号】特表2018-519250(P2018-519250A)
【公表日】平成30年7月19日(2018.7.19)
【年通号数】公開・登録公報2018-027
【出願番号】特願2017-554845(P2017-554845)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ　48/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　 9/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　35/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　21/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　21/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　13/12　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　11/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　31/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　31/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　31/18　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　25/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　 3/04　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　43/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　35/76　(2015.01)
Ｃ１２Ｎ　15/09　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　 5/10　(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ　48/00
Ａ６１Ｐ　 9/00
Ａ６１Ｐ　35/00
Ａ６１Ｐ　21/00
Ａ６１Ｐ　21/04
Ａ６１Ｐ　13/12
Ａ６１Ｐ　11/00
Ａ６１Ｐ　31/00
Ａ６１Ｐ　31/04
Ａ６１Ｐ　31/18
Ａ６１Ｐ　25/00
Ａ６１Ｐ　 3/04
Ａ６１Ｐ　43/00　１１１
Ａ６１Ｋ　35/76
Ｃ１２Ｎ　15/00　ＺＮＡＡ
Ｃ１２Ｎ　 5/10

【手続補正書】
【提出日】平成31年4月12日(2019.4.12)
【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）構築物中にＳｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡを含む組成物であって、前記ｒＡＡＶ構築物が、筋細胞において前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を提供する、組成物。
【請求項２】
前記ｒＡＡＶ構築物が、血清型６（ｒＡＡＶ６）、血清型８（ｒＡＡＶ８）または血清型９（ｒＡＡＶ９）である、請求項１に記載の組成物。
【請求項３】
前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡが、ヒト、マウス、ウマ、ウシ、ヒツジ、イヌまたはブタ起源である、請求項１に記載の組成物。
【請求項４】
発現される前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡが構成的に活性型な変異体である、請求項１に記載の組成物。
【請求項５】
前記ｒＡＡＶ構築物が、筋細胞において前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を指令する組織特異的プロモーターまたはエンハンサーを含む、請求項１に記載の組成物。
【請求項６】
前記ｒＡＡＶ構築物が、心筋細胞、骨格筋細胞またはその両方において前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を提供する、請求項５に記載の組成物。
【請求項７】
前記ｒＡＡＶ構築物が、前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を筋細胞または心臓細胞に限定する組織特異的サイレンサーを含む、請求項１に記載の組成物。
【請求項８】
被験体における筋肉量および／または筋力を増強するための、請求項１～６のいずれか一項に記載の組成物であって、前記被験体に投与されることを特徴とする、組成物。
【請求項９】
前記被験体が筋消耗障害または疾患と診断されていない、請求項８に記載の組成物。
【請求項１０】
癌悪液質と診断された被験体における筋消耗を処置する方法において使用するための、請求項１～６のいずれか一項に記載の組成物であって、前記方法は、癌悪液質を有する被験体を選択すること、および前記組成物を前記被験体に投与することを含む、組成物。
【請求項１１】
筋消耗を処置して筋力および／または筋体積を増加させるための、請求項１～６のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項１２】
被験体における筋消耗を阻害または予防するための、請求項１～６のいずれか一項に記載の組成物であって、前記組成物は、前記被験体に投与されることを特徴とする、組成物。
【請求項１３】
前記筋消耗が慢性障害によって引き起こされる、請求項１０、１１または１２に記載の組成物。
【請求項１４】
前記慢性障害が、癌、老化（サルコペニア）、筋ジストロフィー、ミオパシー、腎疾患、慢性閉塞性肺障害、慢性感染症、ＡＩＤＳ、廃用性萎縮症、神経筋傷害、ニューロパシー、肥満症、心血管疾患またはそれらの２つもしくはそれを超える組み合わせを含む、請求項１３に記載の組成物。
【請求項１５】
筋消耗が微小重力ストレスによって引き起こされる、請求項１０、１１または１２に記

載の組成物。
【請求項１６】
前記筋消耗が、心筋、骨格筋またはその両方の消耗を含む、請求項１０、１１または１２に記載の組成物。
【請求項１７】
前記組成物が、筋肉内注射または静脈内注射を介して送達されることを特徴とする、請求項８～１６のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項１８】
単回用量のｒＡＡＶが投与されることを特徴とする、請求項８～１６のいずれか一項に記載の組成物。
【請求項１９】
複数回用量のｒＡＡＶが投与されることを特徴とする、請求項８～１６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】０１１２
【補正方法】変更
【補正の内容】
【０１１２】
開示される本発明の原理が適用され得る多くの実施形態の可能性を考慮して、例証されている実施形態は本発明の好ましい実施例に過ぎず、本発明の範囲を限定すると捉えられるべきではないと認識すべきである。むしろ、本発明の範囲は、以下の特許請求の範囲によって定義される。したがって、本発明者らは、これらの特許請求の範囲および精神に入る本発明者らの発明のすべてを特許請求する。
例えば、本発明の実施形態の例として、以下の項目が挙げられる。
（項目１）
組換えアデノ随伴ウイルス（ｒＡＡＶ）構築物中にＳｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡを含む組成物であって、前記ｒＡＡＶ構築物が、筋細胞において前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を提供する、組成物。
（項目２）
前記ｒＡＡＶ構築物が、血清型６（ｒＡＡＶ６）、血清型８（ｒＡＡＶ８）または血清型９（ｒＡＡＶ９）である、項目１に記載の組成物。
（項目３）
前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡが、ヒト、マウス、ウマ、ウシ、ヒツジ、イヌまたはブタ起源である、項目１に記載の組成物。
（項目４）
発現される前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡが構成的に活性型な変異体である、項目１に記載の組成物。
（項目５）
前記ｒＡＡＶ構築物が、筋細胞において前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を指令する組織特異的プロモーターまたはエンハンサーを含む、項目１に記載の組成物。
（項目６）
前記ｒＡＡＶ構築物が、心筋細胞、骨格筋細胞またはその両方において前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を提供する、項目５に記載の組成物。
（項目７）
前記ｒＡＡＶ構築物が、前記Ｓｍａｄ７の遺伝子またはｃＤＮＡの発現を筋細胞または心臓細胞に限定する組織特異的サイレンサーを含む、項目１に記載の組成物。
（項目８）
被験体における筋肉量および／または筋力を増強する方法であって、治療有効量の項目１～６のいずれか一項に記載の組成物を前記被験体に投与することを含む、方法。

（項目９）
前記被験体が筋消耗障害または疾患と診断されていない、項目８に記載の方法。
（項目１０）
癌悪液質と診断された被験体における筋消耗を処置する方法であって、癌悪液質を有する被験体を選択すること、および治療有効量の項目１～６のいずれか一項に記載の組成物を前記被験体に投与することを含む、方法。
（項目１１）
項目１～６のいずれか一項に記載の組成物を使用して、筋消耗を処置して筋力および／または筋体積を増加させる方法。
（項目１２）
被験体における筋消耗を阻害または予防する方法であって、治療有効量の項目１～６のいずれか一項に記載の組成物を前記被験体に投与することを含む、方法。
（項目１３）
前記筋消耗が慢性障害によって引き起こされる、項目１０、１１または１２に記載の方法。
（項目１４）
前記慢性障害が、癌、老化（サルコペニア）、筋ジストロフィー、ミオパシー、腎疾患、慢性閉塞性肺障害、慢性感染症、ＡＩＤＳ、廃用性萎縮症、神経筋傷害、ニューロパシー、肥満症、心血管疾患またはそれらの２つもしくはそれを超える組み合わせを含む、項目１３に記載の方法。
（項目１５）
筋消耗が微小重力ストレスによって引き起こされる、項目１０、１１または１２に記載の方法。
（項目１６）
前記筋消耗が、心筋、骨格筋またはその両方の消耗を含む、項目１０、１１または１２に記載の方法。
（項目１７）
筋肉内注射または静脈内注射を介して前記組成物を送達することを含む、項目８～１６のいずれか一項に記載の方法。
（項目１８）
前記ｒＡＡＶを投与することが、単回用量のｒＡＡＶの投与を含む、項目８～１６のいずれか一項に記載の方法。
（項目１９）
前記ｒＡＡＶを投与することが、複数回用量のｒＡＡＶの投与を含む、項目８～１６のいずれか一項に記載の方法。