

【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】平成22年9月2日(2010.9.2)

【公表番号】特表2009-544698(P2009-544698A)  
 【公表日】平成21年12月17日(2009.12.17)  
 【年通号数】公開・登録公報2009-050  
 【出願番号】特願2009-521759(P2009-521759)  
 【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)  
 A 6 1 K 35/76 (2006.01)  
 A 6 1 P 9/00 (2006.01)  
 A 6 1 P 43/00 (2006.01)  
 A 6 1 P 9/04 (2006.01)  
 A 6 1 P 9/06 (2006.01)  
 A 6 1 P 9/10 (2006.01)  
 A 6 1 P 37/06 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088  
 A 6 1 K 35/76  
 A 6 1 P 9/00  
 A 6 1 P 43/00 1 1 1  
 A 6 1 P 9/04  
 A 6 1 P 9/06  
 A 6 1 P 9/10  
 A 6 1 P 37/06

【手続補正書】

【提出日】平成22年7月15日(2010.7.15)

【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】

体循環から冠循環を分離または実質的に分離せずに、冠循環の血管の血流にポリヌクレオチドを少なくとも3分間にわたって直接注入する段階によって心臓疾患を治療または予防するための薬剤の調製における、治療用ポリヌクレオチド組成物の使用であって、前記治療用ポリヌクレオチドを心臓細胞にトランスフェクトして、前記心臓疾患の治療、予防、又は寛解を生じさせる、使用。

【請求項2】

冠循環の流出が不自然に制限されない、請求項1に記載の使用。

【請求項3】

前記疾患が鬱血性心不全である、請求項1または2のいずれかに記載の使用。

【請求項4】

前記血管が左冠動脈または右冠動脈である、請求項1から3のいずれかに記載の使用。

【請求項5】

前記血管中への前記注入が6.0mL/分以下の流速である、請求項1から4のいずれかに記載の使用。

## 【請求項 6】

前記ポリヌクレオチドを前記血管に少なくとも5分間にわたって注入する、請求項1から5のいずれか一項に記載の使用。

## 【請求項 7】

治療用ポリヌクレオチドによる側脳室前部、側脳室下部、中隔および右心室の心臓細胞のトランスフェクションがPCRを使用して検出可能である、請求項1から6のいずれかに記載の使用。

## 【請求項 8】

前記ポリヌクレオチドをウイルスベクターのDNase耐性粒子(DRP)にパッケージし、注入するDRPの合計数が $1 \times 10^{13}$ 以下である、請求項1から7のいずれかに記載の使用。

## 【請求項 9】

前記ウイルスベクターがアデノ随伴ウイルス(AAV)である、請求項8に記載の使用。

## 【請求項 10】

前記ウイルスベクターがAAV6ベクターである、請求項9に記載の使用。

## 【請求項 11】

前記AAVウイルスベクターが、カプシドタンパク質VP1、VP2およびVP3がすべて同じ血清型のAAVのタンパク質ではないように、異種カプシドタンパク質を含む、請求項9に記載の使用。

## 【請求項 12】

前記ウイルスベクターがAAV2/1ベクターである、請求項9に記載の使用。

## 【請求項 13】

前記ポリヌクレオチドがCMV系プロモーターと作動可能に連結しており、前記ウイルスベクターにパッケージされている、請求項8から12のいずれかに記載の使用。

## 【請求項 14】

前記ポリヌクレオチドがSERCA2aコード配列を含む、請求項1から13のいずれかに記載の使用。

## 【請求項 15】

前記ウイルスベクターがAAV2/1であり、前記ポリヌクレオチドがSERCA2aコード配列を含み、前記血管が左、右、または左および右冠動脈であり、前記ポリヌクレオチドの前記注入が少なくとも8分間続き、前記注入の前記流速が6.0mL/分以下である、請求項8に記載の使用。

## 【請求項 16】

前記心臓細胞の前記トランスフェクションが、ポリヌクレオチド注入前の側脳室の短縮率と比較して、前記注入後4カ月で測定すると側脳室の短縮率を増大させる、請求項1から15のいずれかに記載の使用。