

【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 3 年 7 月 26 日 (2021.7.26)

【公表番号】特表 2020-527329 (P2020-527329A)

【公表日】令和 2 年 9 月 10 日 (2020.9.10)

【年通号数】公開・登録公報 2020-037

【出願番号】特願 2019-567349 (P2019-567349)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/54 (2006.01)

C 1 2 N 15/63 (2006.01)

C 1 2 N 1/15 (2006.01)

C 1 2 N 1/19 (2006.01)

C 1 2 N 1/21 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 9/10 (2006.01)

C 1 2 Q 1/6874 (2018.01)

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/00 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

G 0 1 N 33/68 (2006.01)

C 1 2 P 21/02 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/54 Z N A

C 1 2 N 15/63 Z

C 1 2 N 1/15

C 1 2 N 1/19

C 1 2 N 1/21

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 15/09 Z

C 1 2 N 9/10

C 1 2 Q 1/6874 Z

C 1 2 Q 1/6874 C

C 1 2 N 15/09 1 1 0

A 6 1 K 45/00

A 6 1 P 9/00

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 35/76

G 0 1 N 33/68

C 1 2 P 21/02 Z

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 6 月 3 日 (2021.6.3)

【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、少なくともも 9 0 %、少なくともも 9 5 %、少なくともも 9 8 %、または少なくともも 9 9 % 同一の核酸配列を含む単離された核酸分子であって、前記核酸配列が、配列番号 1 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応してセリンをコードするコドンを含むことを条件とする、前記単離された核酸分子、またはその相補体。

**【請求項 2】**

前記核酸配列が、配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応するヌクレオチドを含む、請求項 1 に記載の単離された核酸分子。

**【請求項 3】**

前記核酸配列が、B 4 G A L T 1 遺伝子のエクソン 1 ~ 6 を含む配列番号 2 の部分と、少なくともも 9 0 %、少なくともも 9 5 %、少なくともも 9 8 %、または少なくともも 9 9 % 同一である、請求項 1 または 2 に記載の単離された核酸分子。

**【請求項 4】**

前記核酸配列が、配列番号 2 を含む、請求項 1 または 2 に記載の単離された核酸分子。

**【請求項 5】**

請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の単離された核酸分子を含むベクター。

**【請求項 6】**

請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の単離された核酸分子もしくは請求項 5 に記載のベクターと、担体とを含む、組成物。

**【請求項 7】**

請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の単離された核酸分子もしくは請求項 5 に記載のベクターを含む、宿主細胞。

**【請求項 8】**

配列番号 4 と、少なくともも 9 0 %、少なくともも 9 5 %、少なくともも 9 8 %、または少なくともも 9 9 % 同一の核酸配列を含む単離された核酸分子であって、前記核酸配列が、完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置にセリンをコードするコドンを含むことを条件とする、前記単離された核酸分子、またはその相補体。

**【請求項 9】**

前記核酸配列が、B 4 G A L T 1 遺伝子のエクソン 1 ~ 6 を含む配列番号 4 の部分と、少なくともも 9 0 %、少なくともも 9 5 %、少なくともも 9 8 %、または少なくともも 9 9 % 同一である、請求項 8 に記載の単離された核酸分子。

**【請求項 10】**

前記核酸配列が、配列番号 4 を含む、請求項 8 または 9 に記載の単離された核酸分子。

**【請求項 11】**

請求項 8 ~ 10 のいずれか一項に記載の単離された核酸分子を含む、ベクター。

**【請求項 12】**

請求項 8 ~ 10 のいずれか一項に記載の単離された核酸分子もしくは請求項 11 に記載のベクターと、担体とを含む、組成物。

**【請求項 13】**

請求項 8 ~ 10 のいずれか一項に記載の単離された核酸分子もしくは請求項 11 に記載のベクターを含む、宿主細胞。

**【請求項 14】**

配列番号 8 と、少なくともも 9 0 %、少なくともも 9 5 %、少なくともも 9 8 %、または少なくともも 9 9 % 同一であるポリペプチドをコードする核酸配列を含む単離された核酸分子であって、前記ポリペプチドが、3 5 2 位にセリンを含むことを条件とする、前記核酸分子、またはその相補体。

**【請求項 15】**

前記核酸配列が、配列番号 8 のポリペプチド配列をコードする、請求項 1 4 に記載の単離された核酸分子。

【請求項 1 6】

請求項 1 4 または 1 5 に記載の単離された核酸分子を含む、ベクター。

【請求項 1 7】

請求項 1 4 または 1 5 に記載の単離された核酸分子もしくは請求項 1 6 に記載のベクターと、担体とを含む、組成物。

【請求項 1 8】

請求項 1 4 または 1 5 に記載の単離された核酸分子もしくは請求項 1 6 に記載のベクターを含む、宿主細胞。

【請求項 1 9】

配列番号 6 と、少なくとも 9 0 %、少なくとも 9 5 %、少なくとも 9 8 %、または少なくとも 9 9 % 同一の核酸配列を含み、ヒト - 1, 4 - ガラクトシルトランスフェラーゼ 1 ( B 4 G A L T 1 ) タンパク質をコードする c D N A であって、前記核酸配列が、完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置でセリンをコードすることを条件とする、前記 c D N A、またはその相補体。

【請求項 2 0】

前記核酸配列が、配列番号 6 を含む、請求項 1 9 に記載の c D N A。

【請求項 2 1】

請求項 1 9 または 2 0 に記載の c D N A を含む、ベクター。

【請求項 2 2】

請求項 1 9 または 2 0 に記載の c D N A もしくは請求項 2 1 に記載のベクターと、担体とを含む、組成物。

【請求項 2 3】

請求項 1 9 または 2 0 に記載の c D N A もしくは請求項 2 1 に記載のベクターを含む、宿主細胞。

【請求項 2 4】

配列番号 8 を有する B 4 G A L T 1 バリエーションポリペプチドと、少なくとも 9 0 %、少なくとも 9 5 %、少なくとも 9 8 %、または少なくとも 9 9 % 同一のアミノ酸配列を含む単離されたポリペプチドであって、前記ポリペプチドが、配列番号 8 の 3 5 2 位に対応するセリンを含むことを条件とする、前記単離されたポリペプチド。

【請求項 2 5】

前記 B 4 G A L T 1 バリエーションポリペプチドが、配列番号 8 を含む、請求項 2 4 に記載のポリペプチド。

【請求項 2 6】

請求項 2 4 または請求項 2 5 に記載のポリペプチドと、担体または賦形剤とを含む、組成物。

【請求項 2 7】

請求項 2 4 または請求項 2 5 に記載のポリペプチドを発現する、宿主細胞。

【請求項 2 8】

前記ポリペプチドをコードする核酸分子を含む宿主細胞を培養し、それにより前記細胞に前記ポリペプチドを発現させ、前記発現させたポリペプチドを回収することを含む、請求項 2 4 または請求項 2 5 に記載のポリペプチドの製造方法。

【請求項 2 9】

ヒト対象における B 4 G A L T 1 バリエーション核酸分子の検出方法であって、前記対象から採取した試料をアッセイして、前記試料中の核酸分子が、完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置にセリンをコードする核酸配列を含むかどうかを判定することを含む、前記検出方法。

【請求項 3 0】

前記アッセイが：

前記試料中の核酸分子の B 4 G A L T 1 ゲノム配列の部分を配列決定することであって、配列決定される前記部分が、配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置を含む、前記配列決定すること、

前記試料中の核酸分子の B 4 G A L T 1 mRNA 配列の部分を配列決定することであって、配列決定される前記部分が、配列番号 4 の 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する位置を含む、前記配列決定すること、または

前記試料中の核酸分子の B 4 G A L T 1 cDNA 配列の部分を配列決定することであって、配列決定される前記部分が、配列番号 6 の 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する位置を含む、前記配列決定すること、を含む、請求項 2 9 に記載の方法。

【請求項 3 1】

前記アッセイが：

a) 前記試料を：i) 配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する B 4 G A L T 1 ゲノム配列の位置に近接する B 4 G A L T 1 ゲノム配列の部分、ii) 配列番号 4 の 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する B 4 G A L T 1 mRNA の位置に近接する B 4 G A L T 1 mRNA 配列の部分、または iii) 配列番号 6 の 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する B 4 G A L T 1 cDNA の位置に近接する B 4 G A L T 1 cDNA 配列の部分にハイブリダイズするプライマーと接触させること、

b) 少なくとも：i) 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する B 4 G A L T 1 ゲノム配列の位置、ii) 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する B 4 G A L T 1 mRNA の位置、または iii) 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する B 4 G A L T 1 cDNA の位置を介して前記プライマーを伸長すること、及び

c) 前記プライマーの伸長産物が：配列番号 8 の 3 5 2 位でセリンをコードするヌクレオチドを i) B 4 G A L T 1 ゲノム配列の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する、ii) B 4 G A L T 1 mRNA の 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する、または iii) B 4 G A L T 1 cDNA の 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する位置に含むかどうかを判定することを含む、請求項 2 9 に記載の方法。

【請求項 3 2】

前記アッセイが、前記試料を、ストリンジェントな条件下で、B 4 G A L T 1 バリエーションゲノム配列、mRNA 配列、または cDNA 配列に特異的にハイブリダイズし、対応する野生型 B 4 G A L T 1 配列にはハイブリダイズしないプライマーまたはプローブと接触させること、及びハイブリダイゼーションが生じたかどうかを判定することを含む、請求項 2 9 に記載の方法。

【請求項 3 3】

ヒト対象における B 4 G A L T 1 Asn 3 5 2 Ser の存在の検出方法であって、前記ヒト対象から採取した試料に対してアッセイを行い、前記試料中の B 4 G A L T 1 タンパク質が 3 5 2 位にセリン残基を含むかどうかを判定することを含む、前記検出方法。

【請求項 3 4】

心血管病態の発症に対するヒト対象の感受性をインビトロで判定する方法であって：

a) 前記対象から採取した試料をアッセイして、前記試料中の核酸分子が、完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置にセリンをコードする核酸配列を含むかどうかを判定すること、及び

b) 前記核酸分子が完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置にセリンをコードする核酸配列を含む場合、前記心血管病態を発症するリスクが低いと前記ヒト対象を分類するか、または前記核酸分子が完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置にセリンをコードする核酸配列を含まない場合、前記心血管病態を発症するリスクが高いと前記ヒト対象を分類することを含む、方法。

【請求項 3 5】

前記アッセイが：

前記試料中の核酸分子の B 4 G A L T 1 ゲノム配列の部分を配列決定することであって、配列決定される前記部分が、配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置を

含む、前記配列決定すること、

前記試料中の核酸分子の B 4 G A L T 1 m R N A 配列の部分を配列決定することであって、配列決定される前記部分が、配列番号 4 の 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する位置を含む、前記配列決定すること、または

前記試料中の核酸分子の B 4 G A L T 1 c D N A 配列の部分を配列決定することであって、配列決定される前記部分が、配列番号 6 の 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する位置を含む、前記配列決定すること、を含む、請求項 3 4 に記載の方法。

【請求項 3 6】

前記アッセイが：

a) 前記試料を：i) 配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する B 4 G A L T 1 ゲノム配列の位置に近接する B 4 G A L T 1 ゲノム配列の部分、ii) 配列番号 4 の 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する B 4 G A L T 1 m R N A の位置に近接する B 4 G A L T 1 m R N A 配列の部分、または iii) 配列番号 6 の 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する B 4 G A L T 1 c D N A の位置に近接する B 4 G A L T 1 c D N A 配列の部分にハイブリダイズするプライマーと接触させること、

b) 少なくとも：i) 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する B 4 G A L T 1 ゲノム配列の位置、ii) 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する B 4 G A L T 1 m R N A の位置、または iii) 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する B 4 G A L T 1 c D N A の位置を介して前記プライマーを伸長すること、及び

c) 前記プライマーの伸長産物が：配列番号 8 の 3 5 2 位でセリンをコードするヌクレオチドを i) B 4 G A L T 1 ゲノム配列の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する、ii) B 4 G A L T 1 m R N A の 1 2 4 3 ~ 1 2 4 5 位に対応する、または iii) B 4 G A L T 1 c D N A の 1 0 5 4 ~ 1 0 5 6 位に対応する位置に含むかどうかを判定することを含む、請求項 3 4 に記載の方法。

【請求項 3 7】

前記アッセイが、前記試料を、ストリンジェントな条件下で、B 4 G A L T 1 バリアントゲノム配列、m R N A 配列、または c D N A 配列に特異的にハイブリダイズし、対応する野生型 B 4 G A L T 1 配列にはハイブリダイズしないプライマーまたはプローブと接触させること、及びハイブリダイゼーションが生じたかどうかを判定することを含む、請求項 3 4 に記載の方法。

【請求項 3 8】

心血管病態の発症に対するヒト対象の感受性をインビトロで判定する方法であって：

a) 前記ヒト対象から採取した試料に対してアッセイを行い、前記試料中の B 4 G A L T 1 タンパク質が 3 5 2 位にセリン残基を含むかどうかを判定すること、及び

b) B 4 G A L T 1 ポリペプチドが完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置にセリンを含む場合、前記心血管病態を発症するリスクが低いと前記ヒト対象を分類するか、または B 4 G A L T 1 ポリペプチドが完全長 / 成熟型 B 4 G A L T 1 ポリペプチドの 3 5 2 位に対応する位置にセリンを含まない場合、前記心血管病態を発症するリスクが高いと前記ヒト対象を分類することを含む、方法。

【請求項 3 9】

前記心血管病態が、1 つ以上の血清脂質レベルの上昇を含む、請求項 3 4 ~ 3 8 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 4 0】

前記血清脂質が、コレステロール、L D L、H D L、トリグリセリド、H D L コレステロール、及び非 H D L コレステロールの 1 つ以上を含む、請求項 3 9 に記載の方法。

【請求項 4 1】

前記心血管病態が、冠動脈石灰化レベルの上昇を含む、請求項 3 4 ~ 3 8 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 4 2】

前記心血管病態が、心膜脂肪レベルの上昇を含む、請求項 3 4 ~ 3 8 のいずれか一項に

記載の方法。

【請求項 4 3】

前記心血管病態が、アテローム血栓性病態を含む、請求項 3 4 ~ 3 8 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 4 4】

前記アテローム血栓性病態が、フィブリノーゲンレベルの上昇を含む、請求項 4 3 に記載の方法。

【請求項 4 5】

前記アテローム血栓性病態が、フィブリノーゲン活性の関与から形成される血餅を含む、請求項 4 3 または請求項 4 4 に記載の方法。

【請求項 4 6】

前記心血管病態が、フィブリノーゲンレベルの上昇を含む、請求項 3 4 ~ 3 8 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 4 7】

前記心血管病態が、フィブリノーゲン活性の関与から形成される血餅を含む、請求項 4 6 に記載の方法。

【請求項 4 8】

内在性 B 4 G A L T 1 遺伝子に結合または切断するように C a s 酵素を誘導するのに有効なガイドRNAであって、前記ガイドRNAが、配列番号 1 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置を含むかまたはそれに近接する前記内在性 B 4 G A L T 1 遺伝子内のガイドRNA認識配列にハイブリダイズするDNAターゲティングセグメントを含む、前記ガイドRNA。

【請求項 4 9】

前記ガイドRNA認識配列が、配列番号 9 ~ 1 2 から選択される、請求項 4 8 に記載のガイドRNA。

【請求項 5 0】

B 4 G A L T 1 バリエーションの保因者ではなく、心血管病態を発症しているか、または発症しやすい対象を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は：

a) C a s タンパク質または前記 C a s タンパク質をコードする核酸、

b) ガイドRNAまたは前記ガイドRNAをコードする核酸であって、前記ガイドRNAが、前記 C a s タンパク質と複合体を形成し、内在性 B 4 G A L T 1 遺伝子内のガイドRNA認識配列にハイブリダイズし、前記ガイドRNA認識配列が、配列番号 1 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置を含むかまたはそれに近接する、前記ガイドRNAまたは前記ガイドRNAをコードする前記核酸、及び

c) 配列番号 1 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 に対応する位置の 5' の標的配列にハイブリダイズする 5' 相溶性アーム、配列番号 1 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置の 3' の標的配列にハイブリダイズする 3' 相溶性アーム、ならびに前記 5' 相溶性アーム及び前記 3' 相溶性アームに隣接し、配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置にセリンをコードするヌクレオチド配列を含む核酸インサートを含む外来性ドナー配列、を含み、

前記医薬組成物は、前記対象に導入されるものである、医薬組成物。

【請求項 5 1】

B 4 G A L T 1 バリエーションの保因者ではなく、心血管病態を発症しているか、または発症しやすい対象を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は：

a) C a s タンパク質または前記 C a s タンパク質をコードする核酸、

b) 第 1 のガイドRNAまたは前記第 1 のガイドRNAをコードする核酸であって、前記第 1 のガイドRNAが、前記 C a s タンパク質と複合体を形成し、内在性 B 4 G A L T 1 遺伝子内の第 1 のガイドRNA認識配列にハイブリダイズし、前記第 1 のガイドRNA認識配列が、内在性 B 4 G A L T 1 遺伝子の開始コドンを含むか、または開始コドンから約 1 , 0 0 0 ヌクレオチド以内にあるか、または配列番号 9 ~ 1 2 から選択される、前記

第 1 のガイド RNA または前記第 1 のガイド RNA をコードする前記核酸、及び

c) 配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置にセリンをコードするヌクレオチド配列を含む組換え B 4 G A L T 1 遺伝子を含む発現ベクター、を含み、  
前記医薬組成物は、前記対象に導入されるものである、医薬組成物。

【請求項 5 2】

B 4 G A L T 1 バリエーションの保因者ではなく、心血管病態を発症しているか、または発症しやすい対象を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は、前記対象の細胞の内在性 B 4 G A L T 1 遺伝子内の配列にハイブリダイズして B 4 G A L T 1 ポリペプチドの発現を低下させるアンチセンス RNA、s i RNA、または s h RNA を含む、医薬組成物。

【請求項 5 3】

前記心血管病態が、1 つ以上の血清脂質レベルの上昇を含む、請求項 5 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 5 4】

前記血清脂質が、コレステロール、L D L、H D L、トリグリセリド、H D L コレステロール、及び非 H D L コレステロールの 1 つ以上を含む、請求項 5 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 5 5】

前記心血管病態が、冠動脈石灰化レベルの上昇を含む、請求項 5 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 5 6】

前記心血管病態が、心臓脂肪レベルの上昇を含む、請求項 5 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 5 7】

前記心血管病態が、アテローム血栓性病態を含む、請求項 5 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 5 8】

前記アテローム血栓性病態が、フィブリノーゲンレベルの上昇を含む、請求項 5 7 に記載の医薬組成物。

【請求項 5 9】

前記アテローム血栓性病態が、フィブリノーゲン活性の関与から形成される血餅を含む、請求項 5 8 に記載の医薬組成物。

【請求項 6 0】

前記心血管病態が、フィブリノーゲンレベルの上昇を含む、請求項 5 2 に記載の医薬組成物。

【請求項 6 1】

前記心血管病態が、フィブリノーゲン活性の関与から形成される血餅を含む、請求項 6 0 に記載の医薬組成物。

【請求項 6 2】

B 4 G A L T 1 バリエーションの保因者ではなく、心血管病態を発症しているか、または発症しやすい対象を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は、配列番号 2 の 5 3 5 7 5 ~ 5 3 5 7 7 位に対応する位置にセリンをコードするヌクレオチド配列を含む組換え B 4 G A L T 1 遺伝子を含む発現ベクターを含み、前記医薬組成物は、前記対象に導入されるものである、医薬組成物。

【請求項 6 3】

B 4 G A L T 1 バリエーションの保因者ではなく、心血管病態を発症しているか、または発症しやすい対象を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は、配列番号 8 ( B 4 G A L T 1 A s n 3 5 2 S e r ) と、少なくとも 9 0 %、少なくとも 9 5 %、少なくとも 9 8 % または少なくとも 9 9 % 同一である B 4 G A L T 1 ポリペプチドをコードする核酸を含む発現ベクターを含み、前記医薬組成物は、前記対象に導入されるものである、医薬組成物。

【請求項 6 4】

B 4 G A L T 1 バリアントの保因者ではなく、心血管病態を発症しているか、または発症しやすい対象を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は、配列番号 8 ( B 4 G A L T 1 A s n 3 5 2 S e r ) と、少なくとも 9 0 %、少なくとも 9 5 %、少なくとも 9 8 % または少なくとも 9 9 % 同一である B 4 G A L T 1 ポリペプチドをコードする mRNA を含み、前記医薬組成物は、前記対象に導入されるものである、医薬組成物。

【請求項 6 5】

B 4 G A L T 1 バリアントの保因者ではなく、心血管病態を発症しているか、または発症しやすい対象を治療するための医薬組成物であって、前記医薬組成物は B 4 G A L T 1 A s n 3 5 2 S e r タンパク質またはその断片を含み、前記 B 4 G A L T 1 ポリペプチドが、配列番号 8 ( B 4 G A L T 1 A s n 3 5 2 S e r ) と、少なくとも 9 0 %、少なくとも 9 5 %、少なくとも 9 8 % または少なくとも 9 9 % 同一であり、前記医薬組成物は、前記対象に導入されるものである、医薬組成物。