

【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 25 年 2 月 14 日 (2013.2.14)

【公表番号】特表 2011-512326 (P2011-512326A)

【公表日】平成 23 年 4 月 21 日 (2011.4.21)

【年通号数】公開・登録公報 2011-016

【出願番号】特願 2010-540878 (P2010-540878)

【国際特許分類】

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/06 (2006.01)

A 6 1 P 9/04 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 9/06

A 6 1 P 9/04

C 1 2 N 15/00 G

【手続補正書】

【提出日】平成 23 年 12 月 22 日 (2011.12.22)

【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】

組み換えアデノ随伴ウイルス (A A V) ベクターと、薬学的に許容可能な担体とを具える医薬品組成物において、前記ベクターが、発現生成物とその R N A をフォスフォランバン (P L B) の発現又は P L B 活性を低下させる R N A i 発現カセットを具えていることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 2】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記 R N A i 発現カセットの R N A 発現生成物が、緊縮条件下において P L B 遺伝子 m R N A のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド配列を具えていることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 3】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記 R N A i 発現カセットが配列番号 1 に記載されているヌクレオチド配列を具えていることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 4】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記 R N A 発現生成物が配列番号 2 に記載されているターゲット配列をさらに具えていることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 5】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記組成物が静脈内投与に適していることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 6】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記組成物が動脈内投与に適していることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 7】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記組成物が脳室内投与に適していることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 8】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記組成物が心臓弁灌流に適していることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 9】

請求項 1 に記載の医薬品組成物において、前記 AAV が血清型 9 であることを特徴とする医薬品組成物。

【請求項 10】

少なくとも 1 つの AAV 末端反復を具備しているアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターにおいて、前記ベクターが、発現生成物がフォスフォランバン (PLB) mRNA の発現又は PLB 活性を低下させる RNAi 発現カセットを具備していることを特徴とする AAV ベクター。

【請求項 11】

請求項 10 に記載のアデノ随伴ウイルスにおいて、前記 RNAi 発現カセットの RNA 発現生成物が、緊縮条件下において PLB 遺伝子 mRNA のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド配列を具備しており、それによって心筋細胞に形質導入することを特徴とする AAV ベクター。

【請求項 12】

請求項 10 に記載の AAV ベクターにおいて、前記 RNAi 発現カセットが配列番号 1 に記載されているヌクレオチド配列を具備していることを特徴とする AAV ベクター。

【請求項 13】

請求項 10 に記載の AAV ベクターにおいて、前記 RNA 発現生成物が配列番号 2 に記載されているターゲット配列をさらに具備していることを特徴とする AAV ベクター。

【請求項 14】

請求項 10 に記載の AAV ベクターにおいて、前記 AAV が血清型 9 であることを特徴とする AAV ベクター。

【請求項 15】

i) フォスフォランバン (PLB) の発現又は PLB 活性を低下させる RNAi 発現生成物をコードするポリヌクレオチド配列を具備しているアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターと；

ii) 1 又はそれ以上の緩衝剤と；

iii) (i) 及び (ii) の構成要素の使用についての説明書と；

iv) (i)、(ii) 及び (iii) の構成要素を具備する包装容器と、  
を具備していることを特徴とするキット。

【請求項 16】

請求項 15 に記載のキットにおいて、前記 RNAi が、緊縮条件下において PLB 標的遺伝子 mRNA 転写物のヌクレオチド配列にハイブリダイズするヌクレオチド配列を具備していることを特徴とするキット。

【請求項 17】

請求項 15 に記載のキットにおいて、前記ベクターが配列番号 1 に記載されているヌクレオチド配列を具備していることを特徴とするキット。

【請求項 18】

請求項 15 に記載のキットにおいて、前記 RNAi が配列番号 2 に記載されているターゲット配列をさらに具備していることを特徴とするキット。

【請求項 19】

請求項 15 に記載のキットにおいて、前記 AAV が血清型 9 であることを特徴とするキ

ット。