

【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 12 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 12 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(AAV)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、発現生成物がそのRNAを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発現力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RNAi発現力セットの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RNAi発現力セットが配列番号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末端反復を具え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発現力セットを具え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発現力セットの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えており、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発現力セットが配列番号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え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え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)の構成要素を具える包装容器と、  
を具え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え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え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え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

ツト。