

【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4年8月9日(2022.8.9)

【国際公開番号】WO2020/028830

【公表番号】特表2021-533098(P2021-533098A)

【公表日】令和3年12月2日(2021.12.2)

【出願番号】特願2021-504376(P2021-504376)

【国際特許分類】

A 61K 48/00(2006.01)

10

C 12N 15/864(2006.01)

C 12N 15/12(2006.01)

A 61P 7/04(2006.01)

A 61P 43/00(2006.01)

A 61K 47/59(2017.01)

A 61K 35/76(2015.01)

A 61K 38/37(2006.01)

【F I】

A 61K 48/00

20

C 12N 15/864 1 0 0 Z

C 12N 15/12 Z N A

A 61P 7/04

A 61P 43/00 1 1 1

A 61K 47/59

A 61K 35/76

A 61K 38/37

【手続補正書】

【提出日】令和4年8月1日(2022.8.1)

30

【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】

ヒト対象において第VII因子(FVII)活性を増加させるための、アデノウイルス隨伴ウイルス(AAV)ベクターを含む組成物であって、AAVベクターは、置換FVIIタンパク質をコードし、そして5×10¹²から5×10¹³vg/kgの1つ以上の用量においてヒト対象に投与され、AAVベクターの投与は、循環FVII活性のレベルにおける臨床的に関連する増加をもたらす、組成物。

40

【請求項2】

ヒト対象において第VII因子(FVII)活性を増加させるための、アデノウイルス隨伴ウイルス(AAV)ベクターを含む組成物であって、AAVベクターは、置換FVIIタンパク質をコードし、そして5×10¹²から5×10¹³vg/kgの1つ以上の用量においてヒト対象に投与され、AAVベクターの投与は、ヒト対象が受けるFVII処置の数の減少をもたらす、組成物。

40

【請求項3】

投与が、投与後3-12月の間にヒト対象において自然出血エピソードの1つまたはゼロの発生をもたらす、請求項1または2に記載の組成物。

50

【請求項 4】

A A V ベクターが、 $1 \times 1 0 1 3 \text{ v g / kg}$ から $3 \times 1 0 1 3 \text{ v g / kg}$ の 1 つ以上の用量において投与される、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 5】

A A V ベクターが、 $2 \times 1 0 1 3 \text{ v g / kg}$ から $4 \times 1 0 1 3 \text{ v g / kg}$ の 1 つ以上の用量において投与される、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 6】

A A V ベクターが、 $3 \times 1 0 1 3 \text{ v g / kg}$ の 1 つ以上の用量において投与される、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 7】

置換 F V I I I タンパク質がヒト第 V I I I 因子 B ドメイン欠失 (h F V I I I - B D D) を含む、請求項 1 から 6 のいずれかに記載の組成物。

【請求項 8】

置換 F V I I I タンパク質が配列番号：1 のアミノ酸配列を含む、請求項 1 から 6 のいずれかに記載の組成物。

【請求項 9】

A A V ベクターが A A V 6 血清型を有する、請求項 1 - 8 のいずれかに記載の組成物。

【請求項 10】

A A V ベクターが、肝臓特異的エンハンサーおよびプロモーターに作動可能に連結された置換 F V I I I タンパク質をコードするポリヌクレオチドを含む発現力セットを含む、請求項 1 から 9 のいずれかに記載の組成物。

【請求項 11】

肝臓特異的エンハンサーが配列番号：2 のヌクレオチド配列を含み、および / またはプロモーターが配列番号：3 のヌクレオチド配列を含む、請求項 1 0 に記載の組成物。

【請求項 12】

A A V ベクターが、発現力セットに隣接する A A V 2 5' 逆方向末端反復 (I T R) 配列および A A V 2 3' I T R 配列を含む、請求項 0 または 1 1 に記載の組成物。

【請求項 13】

A A V 2 5' I T R が配列番号：1 2 のヌクレオチド配列を含み、および / または A A V 2 3' I T R が配列番号：1 3 のヌクレオチド配列を含む、請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 14】

発現力セットが、配列番号：5 のヌクレオチド配列を含む、請求項 1 0 から 1 3 のいずれかに記載の組成物。

【請求項 15】

ヒト対象が血友病を有する、請求項 1 から 1 4 のいずれかに記載の組成物。

【請求項 16】

ヒト対象が血友病 A を有する、請求項 1 5 に記載の組成物。

【請求項 17】

ヒト対象が、A A V 投与の 3 - 1 2 月後に F V I I I 処置を受けない、請求項 1 または 2 に記載の組成物。

【請求項 18】

A A V ベクターが静脈内に投与される、請求項 1 から 1 7 のいずれかに記載の組成物。

【請求項 19】

必要とするヒト対象において血友病 A を処置するための、アデノウイルス随伴ウイルス (A A V) ベクターを含む組成物であって、A A V ベクターは A A V 6 血清型を有し、そして配列番号：1 2 を含む A A V 2 5' I T R および配列番号：1 3 を含む A A V 2 3' I T R によって隣接される配列番号：5 を含む発現力セットを含み、

A A V ベクターは、置換 F V I I I タンパク質をコードし、そして $5 \times 1 0 1 2$ から $5 \times 1 0 1 3 \text{ v g / kg}$ の 1 つ以上の用量においてヒト対象に投与される、

10

20

30

40

50

組成物。

10

20

30

40

50