

【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 6 1 K 48/00(2006.01)

C 1 2 N 15/864(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

A 6 1 P 7/04(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 47/59(2017.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 38/37(2006.01)

10

【F I】

A 6 1 K 48/00

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 15/12 Z N A

A 6 1 P 7/04

A 6 1 P 43/00 1 1 1

A 6 1 K 47/59

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 38/37

20

【手続補正書】

【提出日】令和 4 年 8 月 1 日(2022.8.1)

【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 V I I I 因子 (F V I I I) 活性を増加させるための、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、置換 F V I I I タンパク質をコードし、そして 5×10^{12} から 5×10^{13} v g / k g の 1 つ以上の用量においてヒト対象に投与され、A A V ベクターの投与は、循環 F V I I I 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 V I I I 因子 (F V I I I) 活性を増加させるための、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、置換 F V I I I タンパク質をコードし、そして 5×10^{12} から 5×10^{13} v g / k g の 1 つ以上の用量においてヒト対象に投与され、A A V ベクターの投与は、ヒト対象が受ける F V I I I 処置の数の減少をもたらす、組成物。

【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】

AAVベクターが、 1×10^{13} vg / kg から 3×10^{13} vg / 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】

AAVベクターが、 2×10^{13} vg / kg から 4×10^{13} vg / 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】

AAVベクターが、 3×10^{13} vg / 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FV IIIタンパク質がヒト第F III因子Bドメイン欠失(hFV III-BDD)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FV III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】

AAVベクターがAAV 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】

AAV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FV IIIタンパク質をコードするポリヌクレオチドを含む発現カセットを含む、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 10 に記載の組成物。

【請求項 12】

AAVベクターが、発現カセットに隣接するAAV 2 5' 逆方向末端反復(ITR)配列およびAAV 2 3' ITR配列を含む、請求項 10 または 11 に記載の組成物。

【請求項 13】

AAV 2 5' ITRが配列番号：12のヌクレオチド配列を含み、および/またはAAV 2 3' ITRが配列番号：13のヌクレオチド配列を含む、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 14】

発現カセットが、配列番号：5のヌクレオチド配列を含む、請求項 10 から 13 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 14 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 15 に記載の組成物。

【請求項 17】

ヒト対象が、AAV投与の3 - 12月後にFV III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】

AAVベクターが静脈内に投与される、請求項 1 から 17 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(AAV)ベクターを含む組成物であって、AAVベクターはAAV 6血清型を有し、そして配列番号：12を含むAAV 2 5' ITRおよび配列番号：13を含むAAV 2 3' ITRによって隣接される配列番号：5を含む発現カセットを含み、AAVベクターは、置換FV IIIタンパク質をコードし、そして 5×10^{12} から 5×10^{13} vg / 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