

【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 4 年 6 月 14 日(2022.6.14)

【公開番号】特開 2022-84940(P2022-84940A)

【公開日】令和 4 年 6 月 7 日(2022.6.7)

【年通号数】公開公報(特許)2022-101

【出願番号】特願 2022-61771(P2022-61771)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/864(2006.01)

10

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 K 38/17(2006.01)

A 6 1 P 21/00(2006.01)

A 6 1 K 31/7105(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/54(2006.01)

C 1 2 N 15/113(2010.01)

【F I】

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

20

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 38/17

A 6 1 P 21/00

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 P 43/00 1 2 1

C 1 2 N 15/12 Z N A

C 1 2 N 15/54

C 1 2 N 15/113 Z

【手続補正書】

30

【提出日】令和 4 年 5 月 31 日(2022.5.31)

【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】

5' から 3' の方向に、逆方向末端反復 (I T R)、筋特異的制御要素、キメライントロン配列、配列番号 1 のヌクレオチド配列、ポリ A および I T R を含む組換え A A V r h 7 4 ベクター。

40

【請求項 2】

前記筋特異的制御要素が、配列番号 4 または配列番号 6 を含む、請求項 1 に記載の A A V r h 7 4 ベクター。

【請求項 3】

請求項 1 または 2 に記載の前記 A A V r h 7 4 ベクターを含む、組成物。

【請求項 4】

治療有効量の請求項 1 または 2 に記載の A A V r h 7 4 ベクターまたは請求項 3 に記載の組成物を含む、対象における筋ジストロフィーを治療するための組成物。

【請求項 5】

50

治療有効量の請求項 1 または 2 に記載の A A V r h 7 4 ベクターまたは請求項 3 に記載の組成物を含む、筋ジストロフィーに罹患している哺乳類の対象における筋力及び / または筋量を増加するための組成物。

【請求項 6】

治療有効量の請求項 1 または 2 に記載の A A V r h 7 4 ベクターまたは請求項 3 に記載の組成物を含む、筋ジストロフィーに罹患している哺乳類の対象における線維症を軽減するための組成物。

【請求項 7】

治療有効量の請求項 1 または 2 に記載の A A V r h 7 4 ベクターまたは請求項 3 に記載の組成物を含む、筋ジストロフィーに罹患している哺乳類の対象における収縮誘発性傷害を軽減するための組成物。

10

【請求項 8】

治療有効量の請求項 1 または 2 に記載の A A V r h 7 4 ベクターまたは請求項 3 に記載の組成物を含む、対象における β - サルコグリカン異常症を治療するための組成物。

【請求項 9】

前記対象が、肢帯筋ジストロフィー 2 E 型 (L G M D 2 E) に罹患している、請求項 4 ~ 8 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 10】

前記 A A V r h 7 4 ベクターまたは前記組成物が、筋肉内注射または静脈内注射のために製剤化されている、請求項 4 ~ 9 のいずれか一項に記載の組成物。

20

【請求項 11】

前記 A A V r h 7 4 ベクターまたは前記組成物が、全身投与のために製剤化されている、請求項 4 ~ 9 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 12】

前記 A A V r h 7 4 ベクターまたは前記組成物が、注射、注入、または移植による非経口投与のために製剤化されている、請求項 11 に記載の組成物。

【請求項 13】

m i R 2 9 C を含むポリヌクレオチド配列を含む第 2 の組換え A A V ベクターを投与することをさらに含む、請求項 4 ~ 12 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 14】

前記第 2 の組換え A A V ベクターが、配列番号 9 に記載の前記ヌクレオチド配列または配列番号 8 に記載の前記ヌクレオチド配列を含む、請求項 13 に記載の組成物。

30

【請求項 15】

前記第 2 の組換え A A V ベクターが、筋肉内注射または静脈内注射により投与される、請求項 13 または 14 に記載の組成物。

【請求項 16】

それを必要とする哺乳類の対象における筋ジストロフィーのため、線維症を軽減するため、筋力及び / または筋量を増加するため、収縮誘発性傷害を軽減するため、および / または β - サルコグリカン異常症を治療するための薬剤の調製における、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の A A V r h 7 4 ベクターまたは請求項 4 に記載の組成物の使用。

40

【請求項 17】

前記筋ジストロフィーが、肢帯筋ジストロフィー 2 E 型 (L G M D 2 E) である、請求項 16 に記載の使用。