

(12) BREVET D'INVENTION

(11) N° de publication : **MA 52112 B1** (51) Cl. internationale : **C12N 15/86**

(43) Date de publication :
31.08.2023

(21) N° Dépôt :
52112

(22) Date de Dépôt :
16.03.2018

(30) Données de Priorité :
17.03.2017 US 201762473148P

(86) Données relatives à la demande internationale selon le PCT:
PCT/US2018/022881 16.03.2018

(71) Demandeur(s) :
Research Institute at Nationwide Children's Hospital, 700 Children's Drive Columbus, Ohio 43205 (US)

(72) Inventeur(s) :
RODINO-KLAPAC, Louise ; MENDELL, Jerry, R.

(74) Mandataire :
ATLAS INTELLECTUAL PROPERTY

(86) N° de dépôt auprès de l'organisme de validation : EP18768395.8

(54) Titre : **ADMINISTRATION PAR VECTEUR À VIRUS ADÉNO-ASSOCIÉ DE MICRO-DYSTROPHINE SPÉCIFIQUE DU MUSCLE POUR TRAITER LA DYSTROPHIE MUSCULAIRE**

(57) Abrégé : L'invention concerne des vecteurs de thérapie génique, tels que des vecteurs à virus adéno-associé (AAV), exprimant un gène de micro-dystrophine humaine miniaturisé et leur procédé d'utilisation pour exprimer la micro-dystrophine dans les muscles squelettiques dont le diaphragme et le muscle cardiaque et protéger les fibres musculaires contre une lésion, augmenter la force musculaire et réduire et/ou prévenir la fibrose chez les sujets souffrant de dystrophie musculaire.

Revendications

- 1.** Vecteur AAVrh.74 recombinant comprenant un promoteur/activateur spécifique du muscle MHCK7 lié de manière fonctionnelle à la séquence nucléotidique de la SEQ ID NO: 1, le vecteur AAVrh.74 recombinant comprenant une répétition terminale inversée (ITR) AAV2 en 5', le promoteur/activateur spécifique du muscle MHCK7, un intron SV40, la séquence nucléotidique de la SEQ ID NO : 1, un signal de polyadénylation (PolyA) synthétique et une ITR AAV2 en 3'.
- 2.** Vecteur AAVrh.74 recombinant selon la revendication 1, le vecteur comprenant une séquence de nucléotides indiquée comme nucléotides 7-5042 de la SEQ ID NO: 3.
- 3.** Composition comprenant le vecteur AAVrh.74 recombinant selon la revendication 1 ou 2, et un support pharmaceutiquement acceptable.
- 4.** Vecteur AAVrh.74 recombinant selon la revendication 1 ou 2 ou composition selon la revendication 3 pour une utilisation dans le traitement d'une dystrophie musculaire chez un sujet qui en a besoin.
- 5.** Vecteur AAVrh.74 recombinant selon la revendication 1 ou 2 ou composition selon la revendication 3 pour une utilisation dans la réduction ou la prévention d'une fibrose chez un sujet souffrant de dystrophie musculaire.
- 6.** Vecteur AAVrh.74 recombinant ou composition pour une utilisation selon la revendication 4 ou 5, le sujet souffrant d'une dystrophie musculaire de Duchenne.
- 7.** Vecteur AAVrh.74 recombinant ou composition pour une utilisation selon l'une quelconque des revendications 4 à 6, le vecteur AAVrh.74 recombinant ou la composition étant administré(e) par injection intramusculaire ou injection intraveineuse.
- 8.** Vecteur AAVrh.74 recombinant ou composition pour une utilisation selon l'une quelconque des revendications 4 à 7, le vecteur AAVrh.74 recombinant ou la composition étant administré(e) de manière systémique.