1. Kompozicija, apimanti patį sau komplementarų adeno-asocijuoto viruso serotipą 9 (scAAV9), apimantį geną, koduojantį nesekretuojamą terapinį baltymą, skirta panaudoti taikant žmogui I, II, III arba IV tipo stuburo raumenų atrofijos (SMA) gydymą, kur genas yra SMN1, UBA1, DYNC1H1 arba VAPB, ir kompozicija yra sukomponuota injekcijai į smegenų skystį (CSF) intracerebroventrikuliniu, intratekaliniu cisternaliniu arba juosmens intratekaliniu būdu, kur:

i) žmogus yra nuo 9 iki 36 mėnesių amžiaus, ir scAAV9 yra įvedamas tokia bendra doze:

a) nuo 5 × 1013 iki 1,65 × 1014 GC;

b) nuo 1,0 × 1014 iki 3,3 × 1014 GC arba

(c) nuo 2,0 × 1014 iki 6,6 × 1014 GC; arba

ii) žmogus yra nuo 3 iki 12 metų amžiaus, ir scAAV yra įvedamas tokia bendra doze:

a) nuo 6 × 1013 iki 1,98 × 1014 GC;

b) nuo 1,2 × 1014 iki 3,96 × 1014 GC arba

c) nuo 2,4 × 1014 iki 7,92 × 1014 GC.

2. Kompozicija, skirta panaudoti pagal 1 punktą, kur kompozicija yra skirta terapiniam baltymui pristatyti į žmogaus neuronus, Purkinje neuronus ir (arba) astrocitus.

3. Kompozicija, skirta panaudoti pagal 1 arba 2 punktą, kur žmogus yra nuo 3 iki 12 metų amžiaus.

4. Kompozicija, skirta panaudoti pagal 1 arba 2 punktą, kur žmogaus subjektas yra nuo 9 iki 36 mėnesių amžiaus.

5. Kompozicija, skirta panaudoti pagal bet kurį vieną iš 1-4 punktų, kur stuburo raumenų atrofija (SMA) yra II tipo, ir terapinį baltymą koduojantis genas yra SMN1.

6. Kompozicija, skirta panaudoti pagal bet kurį vieną iš 1-5 punktų, kur kompozicija yra skirta panaudoti kartu su terapiškai veiksmingu imunosupresinio agento kiekiu.

7. Kompozicija, skirta panaudoti pagal 6 punktą, kur imunosupresinis agentas sumažina citotoksinių T ląstelių aktyvumą.

8. Kompozicija, skirta panaudoti pagal 6 arba 7 punktą, kur imunosupresinis agentas silpnina encefalitą.

9. Kompozicija, skirta panaudoti pagal bet kurį vieną iš 6-8 punktų, kur imunosupresinis agentas yra steroidas arba nesteroidinis priešuždegiminis agentas.

10. Kompozicija, skirta panaudoti pagal bet kurį iš 1-9 punktų, kur scAAV9 transdukuoja ląsteles smegenyse.

11. Kompozicija, skirta panaudoti pagal 10 punktą, kur scAAV9 transdukuoja ląsteles hipokampe, smegenėlėse ir smegenų žievėje.