1. AAV vektorius, skirtas naudoti motorinių neuronų sutrikimo gydymo būdui subjekte, kuriam to reikia, kur minėtas vektorius yra įvedamas periferiniu būdu įvedant minėtą AAV vektorių minėtam subjektui, o minėtas įvedimas sukelia motorinių neuronų infekciją ir geno ekspresiją motoriniuose neuronuose, ir kur; minėtas AAV vektorius apima

- žmogaus AAV9 kapsidę; ir

- iš AAV-2 gautą genomą, apimantį dominantį geną, koduojantį terapinį produktą, kai minėtas dominantis genas yra funkcionaliai susietas su motoriniuose neuronuose specifiniu arba funkciniu promotoriumi;

kur genas koduoja "motorinio neurono išgyvenimo" baltymą (SMN); ir

kur motorinio neurono sutrikimas yra spinalinės raumenų atrofijos (SMA) sutrikimas.

2. AAV vektorius, skirtas naudoti pagal 1 punktą, kur minėta periferinė injekcija apima intraperitoninę (i.p.), intramuskulinę (i.m.) arba intraveninę (i.v.) injekciją, geriau intraveninę injekciją.

3. AAV vektorius, skirtas naudoti pagal 1 arba 2 punktą, kur AAV genomas yra replikacijos defektų turintis AAV genomas, neturintis funkcinių Rep ir Cap koduojančių virusų sekų.

4. AAV vektorius, skirtas naudoti pagal bet kurį iš 1-3 punktų, kur AAV yra dvigrandis sau komplementarus genomas.