1. Rekombinantinis adeno-asocijuotas virusas (rAAV), skirtas naudoti raumenų distrofijos gydymui žmogui, kuriam to reikia, kur rAAV yra rh.74 serotipo ir apima polinukleotidą, apimantį SEQ ID Nr. 9 nukleotidų seką, kur rAAV yra skiriamas intraveniniu būdu 2x1014 vg/kg doze.

2. rAAV, skirtas naudoti pagal 1 punktą, kur rAAV dozė nustatoma naudojant superspiralinės DNR plazmidės etaloną.

3. rAAV, skirtas naudoti pagal 1 arba 2 punktą, kur kompozicija yra skiriama infuzijos būdu maždaug per vieną valandą.

4. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį iš ankstesnių punktų, kur raumenų distrofija yra Diušeno raumenų distrofija arba Bekerio raumenų distrofija.

5. Rekombinantinis adeno-asocijuotas virusas (rAAV), skirtas naudoti Diušeno raumenų distrofijos gydymui žmogui, kuriam to reikia, kur rAAV yra rh.74 serotipo ir apima polinukleotidą, apimantį SEQ ID Nr. 9 nukleotidų seką, kur rAAV yra skiriamas intravenine infuzija maždaug per vieną valandą 2 x 1014 vg/kg doze.

6. rAAV, skirtas naudoti pagal 5 punktą, kur rAAV dozė nustatoma naudojant superspiralinės DNR plazmidės etaloną.

7. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį iš ankstesnių punktų, kur mikrodistrofino geno raiškos lygis subjekto raumenų ląstelėje padidėja po rAAV įvedimo, palyginti su mikrodistrofino geno raiškos lygiu prieš rAAV įvedimą.

8. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį iš ankstesnių punktų, kur mikrodistrofino baltymo lygis po rAAV įvedimo padidėja bent 72 %, palyginti su mikrodistrofino lygiu prieš rAAV įvedimą.

9. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį iš ankstesnių punktų, kur subjekto serumo CK lygis po rAAV įvedimo sumažėja, palyginti su serumo CK lygiu prieš rAAV įvedimą.

10. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį iš ankstesnių punktų, kur po rAAV įvedimo skaidulų, teigiamų pagal mikrodistrofiną, skaičius subjekto raumenų audinyje padidėja, palyginti su skaidulų, teigiamų pagal mikrodistrofiną, skaičiumi prieš rAAV įvedimą.

11. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį iš ankstesnių punktų, kur alfa-sarkoglikano arba beta-sarkoglikano lygis subjekte padidėja po rAAV įvedimo, palyginti su alfa-sarkoglikano arba beta-sarkoglikano lygiu prieš rAAV įvedimą.

12. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį iš ankstesnių punktų, kur subjekto serumo CK lygis po rAAV įvedimo sumažėja, palyginti su serumo CK lygiu prieš rAAV įvedimą, procentiniu dydžiu parinktu iš grupės, kurią sudaro:

a) ne mažiau kaip 78 % praėjus 90, 180 arba 270 dienų po įvedimo;

b) ne mažiau kaip 46, 55, 56, 57, 58, 59, 60, 61, 62, 63, 64, 65, 66, 67, 68, 69, 70 arba 85 % praėjus 270 dienų po įvedimo;

c) ne mažiau kaip 72, 73, 74 arba 95 % praėjus 180 dienų po įvedimo;

d) ne mažiau kaip 87, 88, 93 arba 95 % praėjus 90 dienų po įvedimo;

e) ne mažiau kaip 70 % praėjus 270 dienų po įvedimo;

f) 70–95 % praėjus 90, 180 arba 270 dienų po įvedimo;

g) ne mažiau kaip 55, 56, 57, 58, 59, 60, 61, 62, 63, 64, 65, 66, 67, 68, 69, 70, 71, 72, 73, 74, 75, 76, 77, 78, 79, 80, 81, 82, 83, 84, 85, 86, 87, 88, 89, 90, 91, 92, 93, 94 arba 95 % praėjus 90, 180 arba 270 dienų po įvedimo; ir

h) ne mažiau kaip 55, 56, 57, 58, 59, 60, 61, 62, 63, 64, 65, 66, 67, 68, 69, 70, 71, 72, 73, 74, 75, 76, 77, 78, 79, 80, 81, 82, 83, 84, 85, 86, 87, 88, 89, 90, 91, 92, 93, 94 arba 95 % praėjus 90, 180 arba 270 dienų po įvedimo.

13. rAAV, skirtas naudoti pagal bet kurį ankstesnį punktą, kur kompozicija apima rAAV.