1. Kompozicija, skirta raumenų distrofijos gydymui subjekte, kuriam to reikia, kur kompozicija apima rekombinantinį adeno-asocijuotą virusą (rAAV) AAVrh74.tMCK.hSCGA, kurio dozė yra nuo 5 × 1013 vg/kg iki 2×1014 vg/kg, remiantis superspiraline DNR arba plazmide, kaip kiekybinio nustatymo etalonu, ir kur kompozicija yra sudaryta įvedimui sisteminiu būdu, ir be to, kur rAAV apima nukleotidų seką bent 90%, 91%, 92%, 93%, 94%, 95%, 96%, 97%, 98% arba 99% tapačią SEQ ID Nr. 4 ir minėta nukleotidų seka koduoja baltymą, kuris išlaiko alfa-sarkoglikano aktyvumą.

2. Kompozicija, skirta naudoti pagal 1 punktą, kur rAAV dozė yra 5 × 10 13 vg/kg, 1×1014 vg/kg arba 2×1014 vg/kg, remiantis superspiraline DNR arba plazmide, kaip kiekybinio nustatymo etalonu.

3. Kompozicija, skirta naudoti raumenų distrofijos gydymui subjekte, kuriam to reikia, kur kompozicija apima rekombinantinį adeno-asocijuotą virusą (rAAV) AAVrh74.tMCK.hSCGA, kurio dozė yra nuo 1,0 × 1013 vg/kg iki 8,0 × 1013 vg/kg, remiantis linerizuota DNR arba plazmide, kaip kiekybinio nustatymo etalonu, ir kur kompozicija yra sudaryta įvedimui sisteminiu būdu, be to, kur rAAV apima nukleotidų seką bent 90%, 91%, 92%, 93%, 94%, 95%, 96%, 97%, 98% arba 99% tapačią SEQ ID Nr. 4 ir minėta nukleotidų seka koduoja baltymą, kuris išlaiko alfa-sarkoglikano aktyvumą.

4.Kompozicija, skirta naudoti pagal 3 punktą, kur kompozicija apima AAVrh74.tMCK.hSCGA, kurio dozė yra 1,85 × 1013 vg/kg arba 7,41 × 1013 vg/kg, remiantis linerizuota DNR arba plazmide, kaip kiekybinio nustatymo etalonu.

5. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-4 punktų, kur scAAVrh74.tMCK.hSGCA konstruktas apima SEQ ID Nr. 4 nukleotidų seką.

6. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-5 punktų, kur alfa-sarkoglikano geno raiškos lygis subjekto ląstelėje padidėja po kompozicijos įvedimo, palyginti su alfa-sarkoglikano geno raiškos lygiu prieš įvedant kompoziciją; arba kur subjekto serumo CK lygis sumažėja po kompozicijos įvedimo, lyginant su CK lygiu serume prieš įvedant kompoziciją; arba kur alfa-sarkoglikano teigiamų skaidulų skaičius subjekto raumenų audinyje padidėja po kompozicijos įvedimo, lyginant su alfa-sarkoglikano teigiamų skaidulų skaičiumi prieš įvedant kompoziciją.

7. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-6 punktų, kur sisteminis įvedimo būdas yra intraveninis įvedimas.

8. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį vieną iš 1-7 punktų, kur kompozicija yra sudaryta įvedimui injekcijos, infuzijos arba implantacijos būdu.

9. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-8 punktų, kur kompozicija yra sudaryta įvedimui infuzijos būdu.

10. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-9 punktų, kur kompozicija yra sudaryta įvedimui intraveniniu būdu per periferinę galūnės veną.

11. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-10 punktų, kur raumenų distrofija yra galūnių-juosmens raumenų distrofija.

12. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-11 punktų, kur raumenų distrofija yra 2D tipo galūnių-juosmens raumenų distrofija (LGMD2D).

13. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį vieną iš 1-12 punktų, kur subjektas kenčia nuo galūnių-juosmens raumenų distrofijos, ir kompozicija yra sudaryta vartoti intravenine infuzija, doze nuo 5 × 1013 vg/kg iki 2×1014 vg/kg, remiantis superspiraline DNR arba plazmide, kaip kiekybinio nustatymo etalonu, ir kur rAAV apima scAAVrh74.tMCK.hSGCA konstrukto nukleotidų seką SEQ ID Nr. 4.

14.mKompozicija, skirta sumažinti serumo CK lygį subjekte, kuriam to reikia, kompozicija, apimanti scAAVrh74.tMCK.hSGCA konstruktą, apimantį SEQ ID Nr. 4 nukleotidų seką.