

【公報種別】特許法第 17 条の 2 の規定による補正の掲載

【部門区分】第 1 部門第 1 区分

【発行日】令和 3 年 7 月 26 日 (2021.7.26)

【公開番号】特開 2021-36918 (P2021-36918A)

【公開日】令和 3 年 3 月 11 日 (2021.3.11)

【年通号数】公開・登録公報 2021-013

【出願番号】特願 2020-202687 (P2020-202687)

【国際特許分類】

C 1 2 N 5/0789 (2010.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

A 6 1 P 7/06 (2006.01)

A 6 1 P 13/02 (2006.01)

A 6 1 P 7/00 (2006.01)

A 6 1 P 7/04 (2006.01)

A 6 1 P 37/02 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/10 (2006.01)

A 6 1 K 35/28 (2015.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/57 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 5/0789

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 35/02

A 6 1 P 7/06

A 6 1 P 13/02

A 6 1 P 7/00

A 6 1 P 7/04

A 6 1 P 37/02

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 9/10

A 6 1 K 35/28

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 2 1

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 31/57

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 5 月 13 日 (2021.5.13)

【手続補正 1】

【補正対象書類名】特許請求の範囲

【補正対象項目名】全文

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

造血幹細胞または造血前駆細胞を含む細胞移植片であって、前記造血幹細胞または造血前駆細胞は、対照の造血幹細胞または造血前駆細胞のベースとなる C X C R 4 の遺伝子発現と比較して少なくとも 30 倍高い C X C R 4 の遺伝子発現を有する、細胞移植片。

【請求項 2】

前記造血幹細胞または造血前駆細胞が、ベースとなる C X C R 4 の遺伝子発現と比較して少なくとも 40 倍、50 倍、60 倍、70 倍、または 80 倍高い C X C R 4 の遺伝子発現を有する、請求項 1 に記載の細胞移植片。

【請求項 3】

前記造血幹細胞または造血前駆細胞が、造血細胞の集団の一部である、請求項 1 に記載の細胞移植片。

【請求項 4】

前記集団が

(a) (i) 0 . 1 % 、 0 . 5 % 、 1 % 、 2 % 、 5 % 、 10 % 、 15 % 、 20 % 、 25 % 、 または 30 % の造血幹細胞または造血前駆細胞 ; または

(i i) 1 % ~ 3 % 、 70 % ~ 80 % 、 または 95 % ~ 100 % の造血幹細胞または造血前駆細胞 ; あるいは

(b) (i) 0 . 10 % 、 0 . 50 % 、 1 . 0 % 、 3 % 、 5 % 、 10 % 、 15 % 、 20 % 、 または 30 % 未満の C D 3 4 + 細胞 ;

(i i) 少なくとも 0 . 01 % 、 かつ 50 % 以下の C D 3 4 + 細胞 ; または

(i i i) 少なくとも 1 % の C D 3 4 + 細胞、少なくとも 3 % の C D 3 4 + 細胞、少なくとも 5 % の C D 3 4 + 細胞、少なくとも 90 % の C D 3 4 + 細胞、または少なくとも 95 % の C D 3 4 + 細胞

を含む、請求項 3 に記載の細胞移植片。

【請求項 5】

前記細胞が、投与を必要とするヒト被験体へ投与できる状態にある、請求項 3 または 4 に記載の細胞移植片。

【請求項 6】

前記造血幹細胞または造血前駆細胞が、治療用組成物の成分である、請求項 1 から 5 のいずれか一項に記載の細胞移植片。

【請求項 7】

前記造血幹細胞または造血前駆細胞が、骨髓、臍帯血、動員された末梢血、ホウオートンゼリー、胎盤、胎児血、または人工多能性幹細胞 (i P S C) から得られたものである、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載の細胞移植片。

【請求項 8】

細胞治療の必要のある被験体の処置において使用するための、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載の細胞移植片を含む組成物。

【請求項 9】

(a) 前記被験体が、急性骨髄性白血病 (A M L) 、急性リンパ芽球性白血病 (A L L) 、慢性骨髄性白血病 (C M L) 、慢性リンパ性白血病 (C L L) 、若年性骨髄単球性白血病、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫、重症再生不良性貧血、ファンコニー貧血、発作性夜間血色素尿症 (P N H) 、赤芽球ろう、先天性無巨核球性血小板減少症 (a m e g a k a r y o c y t o s i s / c o n g e n i t a l t h r o m b o c y t o p e n i a) 、重症複合免疫不全症候群 (S C I D) 、ウイスコット・アルドリッチ症候群、重症型ベータサラセミア (b e t a - t h a l a s s e m i a m a j o r) 、鎌状赤血球症、ハーラー症候群、副腎脳白質ジストロフィー、異染色性白質ジストロフィー、脊髄異形成、不応性貧血、慢性骨髄単球性白血病、原因不明骨髄様化生、家族性血球貪食性リンパ組織球症、固形腫瘍、慢性肉芽腫性疾患、ムコ多糖症、またはダイヤモンド・ブラックファンを有する ;

(b) 前記被験体が、乳がん、卵巣がん、脳がん、前立腺がん、肺がん、結腸がん、皮

膚がん、肝がん、膵がん、または肉腫を有する；

(c) 前記被験体が、骨髄破壊または骨髄非破壊化学療法または放射線療法を受けている；

(d) 前記被験体は、骨髄ドナーである；あるいは

(e) 前記被験体は、虚血組織または虚血による損傷を受けた組織と関連した少なくとも1つの症状を有し、ここで、前記虚血は、急性冠状動脈症候群、急性肺傷害 (ALI)、急性心筋梗塞 (AMI)、急性呼吸窮迫症候群 (ARDS)、動脈閉塞性疾患、動脈硬化症、関節軟骨欠損、無菌性全身性炎症 (aseptic systemic inflammation)、アテローム硬化性心血管疾患、自己免疫疾患、骨折、骨折、脳浮腫、脳低灌流、パージャー病、熱傷、がん、心血管疾患、軟骨損傷、脳梗塞、脳虚血、脳卒中、脳血管疾患、化学療法誘発性ニューロパチー、慢性感染、慢性腸間膜虚血、跛行、うっ血性心不全、結合組織損傷、挫傷、冠動脈疾患 (CAD)、重症肢虚血 (CLI)、クローン病、深部静脈血栓症、深部創傷、潰瘍治癒の遅延、創傷治癒の遅延、糖尿病 (I型およびII型)、糖尿病性ニューロパチー、糖尿病誘発性虚血、播種性血管内凝固 (DIC)、塞栓性脳虚血、移植片対宿主病、遺伝性出血性毛細血管拡張症、虚血性血管疾患、高酸素傷害、低酸素症、炎症、炎症性腸疾患、炎症性疾患、傷害を受けた腱、間欠性跛行、腸管虚血、虚血、虚血性脳疾患、虚血性心疾患、虚血性末梢血管疾患、虚血胎盤、虚血性腎疾患、虚血性血管疾患、虚血再灌流傷害、裂傷、左主冠状動脈疾患、肢虚血、下肢虚血、心筋梗塞、心筋虚血、臓器虚血、変形性関節症、骨粗鬆症、骨肉腫、パーキンソン病、末梢動脈性疾患 (PAD)、末梢動脈疾患、末梢性虚血、末梢性ニューロパチー、末梢血管疾患、前がん、肺水腫、肺塞栓症、リモデリング障害、腎臓虚血、網膜虚血、網膜症、敗血症、皮膚潰瘍、実質臓器移植、脊髄傷害、卒中、軟骨下骨嚢胞、血栓症、血栓性脳虚血、組織虚血、一過性脳虚血発作 (TIA)、外傷性脳傷害、潰瘍性大腸炎、腎臓の血管疾患、血管の炎症性の状態、フォンヒッペル・リンダウ症候群、および組織または臓器の創傷と関連する、請求項8に記載の使用のための組成物。

【請求項10】

前記被験体がヒト被験体である、請求項8または9に記載の組成物。

【請求項11】

被験体における免疫疾患または障害の処置において使用するための、請求項1～7のいずれか一項に記載の細胞移植片を含む組成物。

【請求項12】

被験体におけるがんの処置において使用するための、請求項1～7のいずれか一項に記載の細胞移植片を含む組成物。

【請求項13】

前記被験体が、乳がん、卵巣がん、脳がん、前立腺がん、肺がん、結腸がん、皮膚がん、肝がん、膵がん、または肉腫を有する、請求項12に記載の組成物。

【請求項14】

前記被験体が、骨髄破壊または骨髄非破壊化学療法または放射線療法を受けている、請求項12に記載の組成物。

【請求項15】

前記被験体が骨髄ドナーである、請求項12に記載の組成物。

【請求項16】

急性冠状動脈症候群、急性肺傷害 (ALI)、急性心筋梗塞 (AMI)、急性呼吸窮迫症候群 (ARDS)、動脈閉塞性疾患、動脈硬化症、関節軟骨欠損、無菌性全身性炎症 (aseptic systemic inflammation)、アテローム硬化性心血管疾患、自己免疫疾患、骨折、脳浮腫、脳低灌流、パージャー病、熱傷、がん、心血管疾患、軟骨損傷、脳梗塞、脳虚血、脳卒中、脳血管疾患、化学療法誘発性ニューロパチー、慢性感染、慢性腸間膜虚血、跛行、うっ血性心不全、結合組織損傷、挫傷、冠動脈疾患 (CAD)、重症肢虚血 (CLI)、クローン病、深部静脈血栓症、深部創傷、潰瘍治癒の遅延、創傷治癒の遅延、I型糖尿病、II型糖尿病、糖尿病性ニューロパチー、糖尿病

誘発性虚血、播種性血管内凝固（D I C）、塞栓性脳虚血、移植片対宿主病、凍傷、遺伝性出血性毛細血管拡張症、虚血性血管疾患、高酸素傷害、低酸素症、炎症、炎症性腸疾患、炎症性疾患、傷害を受けた腱、間欠性跛行、腸管虚血、虚血、虚血性脳疾患、虚血性心疾患、虚血性末梢血管疾患、虚血胎盤、虚血性腎疾患、虚血性血管疾患、虚血再灌流傷害、裂傷、左主冠状動脈疾患、肢虚血、下肢虚血、心筋梗塞、心筋虚血、臓器虚血、変形性関節症、骨粗鬆症、骨肉腫、パーキンソン病、末梢動脈性疾患（P A D）、末梢動脈疾患、末梢性虚血、末梢性ニューロパチー、末梢血管疾患、前がん、肺水腫、肺塞栓症、リモデリング障害、腎臓虚血、網膜虚血、網膜症、敗血症、皮膚潰瘍、実質臓器移植、脊髄傷害、卒中、軟骨下骨嚢胞、血栓症、血栓性脳虚血、組織虚血、一過性脳虚血発作（T I A）、外傷性脳傷害、潰瘍性大腸炎、腎臓の血管疾患、血管の炎症性の状態、フォンヒッペル・リンダウ症候群、および組織または臓器の創傷の処置において使用するための、請求項 1 ～ 7 のいずれか一項に記載の細胞移植片を含む組成物。