

【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】平成27年5月28日 (2015.5.28)

【公表番号】特表2013-524837(P2013-524837A)

【公表日】平成25年6月20日 (2013.6.20)

【年通号数】公開・登録公報2013-032

【出願番号】特願2013-508153(P2013-508153)

【国際特許分類】

C 1 2 N 5/071 (2010.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 M 3/00 (2006.01)

A 6 1 L 31/00 (2006.01)

A 6 1 L 27/00 (2006.01)

C 0 7 K 14/47 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 5/00 2 0 2 A

C 1 2 N 15/00 Z N A A

C 1 2 M 3/00 A

A 6 1 L 31/00 Z

A 6 1 L 27/00 E

C 0 7 K 14/47

【手続補正書】

【提出日】平成27年4月7日 (2015.4.7)

【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】

誘導心筋細胞をインビトロで発生させる方法であって、G a t a 4、M e f 2 c、T b x 5、M e s p 1、N k x 2 - 5、I s l - 1、M y o c d、S m y d 1、及び S r f ポリペプチドから選択される1つ以上のリプログラミング因子を生後線維芽細胞内に導入することを含み、ここで該導入により心筋細胞内への生後線維芽細胞の直接リプログラミングが起こり、これにより誘導心筋細胞を発生させる、方法。

【請求項 2】

リプログラミング因子が G a t a 4、M e f 2 c、及び T b x 5 を含む、請求項 1 記載の方法。

【請求項 3】

生後線維芽細胞がヒト細胞、げっ歯類細胞、又は非ヒト霊長類細胞である、請求項 1 記載の方法。

【請求項 4】

該導入がリプログラミング因子ポリペプチドをコードするヌクレオチド配列を含む1つ以上の核酸で生後線維芽細胞を遺伝子的に修飾することを含む、請求項 1 記載の方法。

【請求項 5】

該核酸が組み換えベクターである、請求項 4 記載の方法。

【請求項 6】

ヌクレオチド配列が転写調節エレメントに作動可能に連結している、請求項 4 記載の方

法。

【請求項 7】

転写調節エレメントが生後線維芽細胞中で機能する構成的プロモーターである、請求項 6 記載の方法。

【請求項 8】

該導入が生後線維芽細胞中に外因性のリプログラミング因子ポリペプチドを導入することを含む、請求項 1 記載の方法。

【請求項 9】

該外因性リプログラミング因子ポリペプチドが異種性蛋白質形質導入ドメインを含む、請求項 7 記載の方法。

【請求項 10】

誘導心筋細胞を単離することを更に含む、請求項 1 記載の方法。

【請求項 11】

遺伝子的に修飾された生後線維芽細胞であって、Gata 4、Mef 2c、Tbx 5、Mesp 1、Nkx 2-5、Isl-1、Myocd、Smyd 1、及びSrfポリペプチドから選択される1つ以上のリプログラミング因子をコードするヌクレオチド配列を含む1つ以上の外因性核酸で遺伝子的に修飾されている、生後線維芽細胞。

【請求項 12】

リプログラミング因子がGata 4、Mef 2c、及びTbx 5である、請求項 11 記載の遺伝子的に修飾された生後線維芽細胞。

【請求項 13】

遺伝子的に修飾された生後線維芽細胞がヒト細胞、げっ歯類細胞、又は非ヒト霊長類細胞である、請求項 11 記載の遺伝子的に修飾された生後線維芽細胞。

【請求項 14】

1つ以上の外因性核酸が線維芽細胞のゲノム内に組み込まれる、請求項 11 記載の遺伝的に修飾された生後線維芽細胞。

【請求項 15】

請求項 11 記載の遺伝的に修飾された生後線維芽細胞を含む組成物。

【請求項 16】

組成物が液体培地、凍結保存剤、又はマトリックス成分を含む、請求項 15 記載の組成物。

【請求項 17】

マトリックスがコラーゲン、ゼラチン、フィブリン、フィブリノーゲン、ラミニン、グリコサミノグリカン、エラスチン、ヒアルロン酸、プロテオグリカン、グリカン、ポリ(乳酸)、ポリ(ビニルアルコール)、ポリ(ビニルピロリドン)、ポリ(エチレンオキシド)、セルロース；セルロース誘導体、澱粉、澱粉誘導体、ポリ(カプロラクトン)、及びポリ(ヒドロキシ酪酸)の1つ以上を含む、請求項 16 記載の組成物。

【請求項 18】

請求項 11 記載の遺伝的に修飾された生後線維芽細胞から派生させた誘導心筋細胞。

【請求項 19】

請求項 1 の方法を用いて発生させた誘導心筋細胞。

【請求項 20】

請求項 18 又は請求項 19 の誘導心筋細胞を含む組成物。

【請求項 21】

組成物が液体培地、凍結保存剤、又はマトリックス成分を含む、請求項 20 記載の組成物。

【請求項 22】

マトリックスがコラーゲン、ゼラチン、フィブリン、フィブリノーゲン、ラミニン、グリコサミノグリカン、エラスチン、ヒアルロン酸、プロテオグリカン、グリカン、ポリ(乳酸)、ポリ(ビニルアルコール)、ポリ(ビニルピロリドン)、ポリ(エチレンオキシ

ド)、セルロース;セルロース誘導体、澱粉、澱粉誘導体、ポリ(カプロラクトン)、及びポリ(ヒドロキシ酪酸)の1つ以上を含む、請求項2 1記載の組成物。

【請求項 2 3】

a)

i) G a t a 4、M e f 2 c、T b x 5、M e s p 1、N k x 2 - 5、I s l - 1、M y o c d、S m y d 1、及びS r f ポリペプチドから選択される2つ以上のリプログラミング因子;又は、

i i) G a t a 4、M e f 2 c、T b x 5、M e s p 1、N k x 2 - 5、I s l - 1、M y o c d、S m y d 1、及びS r f ポリペプチドから選択される2つ以上のリプログラミング因子をコードするヌクレオチド配列を含む1つ以上の核酸;と

b) 緩衝剤;

を含むリプログラミング組成物。

【請求項 2 4】

2つ以上のリプログラミング因子がG a t a 4、M e f 2 c、及びT b x 5である、請求項2 3記載のリプログラミング組成物。

【請求項 2 5】

製薬上許容しうる賦形剤を更に含む、請求項2 3記載のリプログラミング組成物。

【請求項 2 6】

治療剤を更に含む、請求項2 3記載のリプログラミング組成物。

【請求項 2 7】

請求項2 3記載のリプログラミング組成物を含む移植可能な装置。

【請求項 2 8】

装置がステントである請求項2 7記載の移植可能な装置。

【請求項 2 9】

リプログラミング組成物が放出が制御された組成物である、請求項2 7記載の移植可能な装置。

【請求項 3 0】

ドナー個体の生後線維芽細胞から誘導心筋細胞をインビトロで発生させることを含み、ここで該ドナー個体はレシピエント個体と免疫適合性である、細胞移植を要するレシピエント個体において細胞移植を実施するための方法。

【請求項 3 1】

レシピエントとドナーが同じ個体である、請求項3 0記載の方法。

【請求項 3 2】

レシピエントとドナーが異なる個体である、請求項3 0記載の方法。

【請求項 3 3】

誘導心筋細胞が請求項 1 記載の方法を用いて発生される、請求項3 0記載の方法。