

【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3部門第2区分

【発行日】令和2年4月9日(2020.4.9)

【公開番号】特開2019-199476(P2019-199476A)

【公開日】令和1年11月21日(2019.11.21)

【年通号数】公開・登録公報2019-047

【出願番号】特願2019-132856(P2019-132856)

【国際特許分類】

A 6 1 K	31/52	(2006.01)
A 6 1 P	7/00	(2006.01)
A 6 1 P	7/04	(2006.01)
A 6 1 P	7/06	(2006.01)
A 6 1 P	31/04	(2006.01)
A 6 1 P	31/18	(2006.01)
A 6 1 P	35/02	(2006.01)
C 1 2 N	15/90	(2006.01)
C 1 2 N	15/113	(2010.01)

【F I】

A 6 1 K	31/52	
A 6 1 P	7/00	
A 6 1 P	7/04	
A 6 1 P	7/06	
A 6 1 P	31/04	
A 6 1 P	31/18	
A 6 1 P	35/02	
C 1 2 N	15/90	1 0 0 Z
C 1 2 N	15/113	Z

【手続補正書】

【提出日】令和2年2月21日(2020.2.21)

【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】

6-チオグアニン(6TG)、6-メルカブトプリン(6-MP)、またはアザチオプリン(AZA)から選択されるプリン塩基アナログを含む、生着造血幹細胞(HSC)の単一サイクルインビオ化学選択の方法に用いるための薬剤であって、

該方法が、

(a) プレコンディショニングされた対象に、ヒポキサンチン-グアニンホスホリボシルトランスフェラーゼ(HPRT)が下方制御されたドナーHSCを生着させる工程；および

(b) 対象にプリン塩基アナログを2~4日毎に2~8週間という単一サイクルで継続的に投与する工程であって、該投与が、該生着させる工程(a)の直後から開始される工程を含み、放射線を介するプレコンディショニング無しで行われる方法である、薬剤。

【請求項2】

該生着されるHSCが遺伝子操作されている、請求項1記載の薬剤。

**【請求項3】**

対象に投与されるプリン塩基アナログの量が約1~5mg/kgである、請求項1または2記載の薬剤。

**【請求項4】**

前記プリン塩基アナログが6TGである、請求項1~3のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項5】**

工程(b)において前記対象に投与される総6TG投薬量が105mgを超えない、請求項4記載の薬剤。

**【請求項6】**

工程(b)において前記対象に投与される総6TG投薬量が75mgを超えない、請求項4記載の薬剤。

**【請求項7】**

前記(b)の投与する工程が、前記生着させる工程の後に、3日毎にかつ4週間以内で行われる、請求項1~6のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項8】**

前記対象が、75%を超える遺伝子操作された造血細胞を示す、請求項1~7のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項9】**

前記対象が、95%を超える遺伝子操作された造血細胞を示す、請求項1~7のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項10】**

前記生着されるドナーHSCにおけるHPRTが、shRNAを導入することで下方制御されている、請求項1~9のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項11】**

前記生着されたHSCが自家または同系である、請求項1~10のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項12】**

前記生着されたHSCが同種異系である、請求項1~10のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項13】**

前記対象が骨髄破壊的な放射線で処置されない、請求項1~12のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項14】**

前記対象が、遺伝性障害もしくは遺伝子障害、リンパ造血細胞に影響を及ぼす後天性疾患、またはリンパ造血悪性腫瘍を有する、請求項1~13のいずれか一項記載の薬剤。

**【請求項15】**

前記対象が、ヒトである、請求項1~14のいずれか一項記載の薬剤。