

【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1年12月12日(2019.12.12)

【公表番号】特表2019-503985(P2019-503985A)

【公表日】平成31年2月14日(2019.2.14)

【年通号数】公開・登録公報2019-006

【出願番号】特願2018-522547(P2018-522547)

【国際特許分類】

C 0 7 K 16/28 (2006.01)
 A 6 1 P 7/00 (2006.01)
 A 6 1 P 9/00 (2006.01)
 A 6 1 P 17/02 (2006.01)
 A 6 1 P 39/02 (2006.01)
 A 6 1 K 35/12 (2015.01)
 A 6 1 P 35/00 (2006.01)
 A 6 1 P 35/02 (2006.01)
 A 6 1 K 35/51 (2015.01)
 A 6 1 K 35/15 (2015.01)
 C 1 2 N 5/0789 (2010.01)
 C 1 2 N 5/10 (2006.01)
 C 1 2 N 5/078 (2010.01)
 A 0 1 K 67/027 (2006.01)
 C 1 2 N 1/02 (2006.01)
 G 0 1 N 33/53 (2006.01)
 C 1 2 N 15/09 (2006.01)
 C 1 2 P 21/08 (2006.01)
 C 1 2 N 15/06 (2006.01)

【 F I 】

C 0 7 K 16/28
 A 6 1 P 7/00
 A 6 1 P 9/00
 A 6 1 P 17/02
 A 6 1 P 39/02
 A 6 1 K 35/12
 A 6 1 P 35/00
 A 6 1 P 35/02
 A 6 1 K 35/51
 A 6 1 K 35/15 Z
 C 1 2 N 5/0789
 C 1 2 N 5/10
 C 1 2 N 5/078
 A 0 1 K 67/027
 C 1 2 N 1/02
 G 0 1 N 33/53 Y
 C 1 2 N 15/09 Z
 C 1 2 P 21/08
 C 1 2 N 15/06 1 0 0

【手続補正書】

【提出日】令和1年11月1日(2019.11.1)

【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】

2 - 3シアル酸付加されたラクト - ネオラクト型構造に結合する抗体を使用して単離されたヒト造血幹細胞 (HSC) 集団または該HSC集団から導出された細胞集団のうち少なくとも一つを含む組成物。

【請求項2】

前記HSCが、in vivoモデルによって機能的に決定される通り、再構築の高い潜在的可能性を有するHSCである、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記2 - 3シアル酸付加されたラクト - ネオラクト型構造が、シアリルI、シアリルi、シアリルラクトース、シアリルラクト - N - テトラオース、シアリルラクト - N - ネオテトラオース、およびN - アセチルシアリルラクトースアミンから選択される、請求項1または2に記載の組成物。

【請求項4】

前記2 - 3シアル酸付加されたラクト - ネオラクト型構造が、シアリルラクトースである、請求項3に記載の組成物。

【請求項5】

前記HSCを単離するために使用された前記抗体が、ヒト幹細胞マーカーCD133上の2 - 3シアル酸付加されたラクト - ネオラクト型構造 (3' SL - CD - 133) に結合する、請求項1 ~ 4のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項6】

前記HSCを単離するために使用された前記抗体が、3' SL - CD133に特異的に結合することができ、ノイラミニダーゼで処理した3' SL - CD133には結合することができない、請求項1 ~ 5のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項7】

前記in vivoモデルが、亜致死的または致死的に照射されたマウスへの、再構築の高い潜在的可能性を有する原始HSCの移植を含む、請求項2 ~ 6のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項8】

前記抗体が、CD133に結合するか、またはCD133との結合が増強しており、ヒト - フコシダーゼで処理したCD133に結合することができるが、ノイラミニダーゼで処理したCD133には結合することができない、請求項1 ~ 7のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項9】

前記HSCが、骨髄、動員末梢血、および臍帯血から選択される少なくとも一つの供給源から得られる、請求項1 ~ 8のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項10】

前記HSCが、FACS選別、免疫磁気ビーズ、およびアフィニティマトリックスから選択される少なくとも一つの方法によって得られる、請求項1 ~ 9のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項11】

前記HSC集団から導出された前記細胞集団が、遺伝的に修飾されたHSCを含む、請求項1 ~ 10のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項12】

前記 H S C 集団から導出された前記細胞集団が、リンパ系列の分化した細胞を含む、請求項 1 ~ 1 1 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 3】

前記 H S C 集団から導出された前記細胞集団が、赤血球系列の分化した細胞を含む、請求項 1 ~ 1 1 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 4】

前記 H S C 集団から導出された前記細胞集団が、内皮前駆細胞を含む、請求項 1 ~ 1 1 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 5】

血液学的疾患を処置し、血液学的障害を処置し、血液学的状態を処置し、心血管障害を処置し、創傷を処置し、化学療法から救済し、かつ/または高線量放射線から対象を救済するための組成物であって、請求項 1 ~ 1 4 のいずれか一項に記載の細胞集団を含む、組成物。

【請求項 1 6】

遺伝的疾患、障害、または状態を有する患者を処置するための組成物であって、前記組成物は、遺伝的に修飾された H S C または前記遺伝的に修飾された H S C から導出された細胞を含み、

前記 H S C は、請求項 1 ~ 1 5 のいずれか一項に従って生成された抗体を使用して、細胞集団におけるドナー細胞集団から単離される、組成物。

【請求項 1 7】

前記ドナーが、前記被験体である、請求項 1 ~ 1 6 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 8】

前記ドナーが、前記被験体ではない、請求項 1 ~ 1 6 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 1 9】

前記被験体が、化学療法または放射線曝露から回復中である、請求項 1 ~ 1 8 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 2 0】

前記被験体が、遺伝的疾患、障害または状態を有する、請求項 1 ~ 1 8 のいずれか一項に記載の組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 0 3 4

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 0 3 4】

先の概要および以下の詳細な説明の両方は、単に例示的かつ説明的なものであり、特許請求される本開示を制限するものではないことを理解されたい。

特定の実施形態では、例えば、以下が提供される：

(項目 1)

ヒト造血幹細胞 (H S C) を識別かつ単離するために使用され得る抗体を生成するための方法であって、

2 - 3 シアル酸付加されたラクト - ネオラクト型構造に結合し、

ヒト H S C を識別することができる

抗体について、抗体集団をスクリーニングするステップを含む、方法。

(項目 2)

前記抗体集団が、C D 3 4 + / C D 3 8 - H S C に対して産生される、項目 1 に記載の方法。

(項目 3)

前記識別された H S C が、再構築の高い潜在的可能性を有する H S C である、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目4)

前記2-3シアル酸付加されたラクト-ネオラクト型構造が、シアリルI、シアリルi、シアリルラクトース、シアリルラクト-N-テトラオース、シアリルラクト-N-ネオテトラオース、およびN-アセチルシアリルラクトースアミンから選択される、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目5)

前記2-3シアル酸付加されたラクト-ネオラクト型構造が、シアリルラクトースである、項目4に記載の方法。

(項目6)

前記抗体が、ヒト幹細胞マーカーCD133上の2-3シアル酸付加されたラクト-ネオラクト型構造に結合する、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目7)

前記抗体が、3'SL-CD133に特異的に結合し、ノイラミニダーゼで処理した3'SL-CD133には結合しない、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目8)

前記抗体が、in vivoモデルによって機能的に決定される通り、再構築の高い潜在的可能性を有する原始HSCを単離するために使用することができる、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目9)

前記in vivoモデルが、亜致死的または致死的に照射されたマウスへの、再構築の高い潜在的可能性を有する原始HSCの移植である、項目8に記載の方法。

(項目10)

前記抗体が、CD133およびヒト-フコシダーゼで処理したCD133に結合するか、またはそれらとの結合が増強しているが、ノイラミニダーゼで処理したCD133には結合しない、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目11)

前記in vivoモデルが、亜致死的または致死的に照射されたマウスへの、再構築の高い潜在的可能性を有する原始HSCの移植である、項目10に記載の方法。

(項目12)

前記HSCが、骨髄、動員末梢血、および臍帯血から選択される少なくとも1つの供給源から得られる、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目13)

前記HSCが、FACS選別、免疫磁気ビーズ、およびアフィニティマトリックスから選択される少なくとも1つの方法によって得られる、先行する項目のいずれかに記載の方法。

(項目14)

前記ヒト幹細胞マーカーCD133が、ヒトHSCまたはヒト造血前駆細胞から単離される、項目6-13のいずれかに記載の方法。

(項目15)

項目1-14のいずれか一項に記載の方法によって生成された抗体を使用して単離された、HSC集団。

(項目16)

項目1-14のいずれか一項に記載の方法によって生成された抗体を使用して、HSCを単離するステップと、
前記単離されたHSCを遺伝的に修飾するステップと
によって生成された、遺伝的に修飾されたHSC集団。

(項目17)

前記細胞が、骨髄、末梢血、白血球除去生成物、臍帯血、またはそれらの組合せから単離される、項目15または16に記載の細胞集団。

(項目18)

項目 15 ~ 17 のいずれか一項に記載の集団から分化した、リンパ系列の細胞集団。

(項目 19)

項目 15 ~ 17 のいずれか一項に記載の集団から分化した、赤血球系列の細胞集団。

(項目 20)

項目 15 ~ 17 のいずれか一項に記載の集団から分化した、内皮前駆細胞集団。

(項目 21)

項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法によって生成された、単離されたマウスモノクローナル抗体。

(項目 22)

血液学的疾患を処置し、血液学的障害を処置し、血液学的状態を処置し、心血管障害を処置し、創傷を処置し、化学療法から救済し、かつ/または高線量放射線から対象を救済する方法であって、項目 15 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞集団を投与するステップを含む、方法。

(項目 23)

項目 15 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞集団を使用して、造血発生を再構築する方法。

(項目 24)

項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法に従って生成された抗体を使用して、疾患、障害、または状態を診断する方法。

(項目 25)

項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法に従って生成された抗体を使用して、HSCを精製する方法。

(項目 26)

項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法に従って生成された抗体を使用して、リンパ腫を処置する方法。

(項目 27)

項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法に従って生成された抗体を使用して、疾患、障害、または状態をモニタリングする方法。

(項目 28)

項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法に従って生成された抗体を使用して、疾患、障害、または状態の処置をモニタリングする方法。

(項目 29)

項目 15 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞を使用して、進行性濾胞性リンパ腫を処置する方法。

(項目 30)

項目 15 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞を使用して、小児の血液学的疾患を処置する方法。

(項目 31)

項目 15 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞を使用して、血液学的障害を処置する方法。

(項目 32)

項目 15 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞を使用して、心血管障害を処置する方法。

(項目 33)

項目 15 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞を使用して、創傷治癒を促進する方法。

(項目 34)

前記疾患が、急性骨髄性白血病である、項目 30 に記載の方法。

(項目 35)

項目 16 ~ 20 のいずれか一項に記載の細胞を使用して、遺伝的疾患、障害、または状態を処置する方法。

(項目 36)

血液学的疾患、障害、または状態を有する患者を処置する方法であって、
ドナーから細胞集団を得るステップと、
項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法によって生成された抗体を使用して、前記細胞
集団における H S C を識別するステップと、
前記識別された H S C または前記識別された H S C から導出された細胞を、前記患者に投
与するステップと
を含む、方法。

(項目 37)

化学療法または放射線曝露から回復中の患者を処置する方法であって、
ドナーから細胞集団を得るステップと、
項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法によって生成された抗体を使用して、前記細胞
集団における H S C を識別するステップと、
前記識別された H S C または前記識別された H S C から導出された細胞を、化学療法また
は放射線曝露から回復中の患者に投与するステップと
を含む、方法。

(項目 38)

創傷を受けている患者の創傷治癒を促進する方法であって、
ドナーから細胞集団を得るステップと、
項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法によって生成された抗体を使用して、前記細胞
集団における H S C を識別するステップと、
前記識別された H S C または前記識別された H S C から導出された細胞を、化学療法また
は放射線曝露から回復中の患者に投与するステップと
を含む、方法。

(項目 39)

遺伝的疾患、障害、または状態を有する患者を処置する方法であって、
ドナーから細胞集団を得るステップと、
項目 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の方法によって生成された抗体を使用して、前記細胞
集団における H S C を識別するステップと、
前記識別された H S C を、遺伝的に修飾するステップと、
前記遺伝的に修飾された H S C または前記遺伝的に修飾された H S C から導出された細胞
を、前記患者に投与するステップと
を含む、方法。

(項目 40)

前記ドナーが、前記患者である、項目 36 ~ 39 のいずれか一項に記載の方法。

(項目 41)

前記ドナーが、前記患者ではない、項目 36 ~ 39 のいずれか一項に記載の方法。