【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24年8月30日(2012.8.30)

【公表番号】特表2011-528227(P2011-528227A)
【公表日】平成23年11月17日(2011.11.17)
【年通号数】公開・登録公報2011-046
【出願番号】特願2011-518738(P2011-518738)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ　15/09　(2006.01)
Ａ０１Ｋ　67/027　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　5/10　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　45/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　25/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　43/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　45/06　(2006.01)
【ＦＩ】
Ｃ１２Ｎ　15/00　ＺＮＡＡ
Ａ０１Ｋ　67/027
Ｃ１２Ｎ　5/00　１０２
Ａ６１Ｋ　45/00
Ａ６１Ｐ　25/00
Ａ６１Ｐ　43/00　１２１
Ａ６１Ｋ　45/06

【手続補正書】
【提出日】平成24年7月13日(2012.7.13)
【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】
ＭＲＦ活性を調節する生物活性剤を含む組成物であって、前記組成物は、
（ａ）被験体における神経障害の治療、
（ｂ）被験体における再有髄化の促進、および／または
（ｃ）幹細胞の希突起膠細胞への分化の促進
をすることができ、前記生物活性剤は、ペプチド、抗体、アプタマー、ｓｉＲＮＡ、ｍｉＲＮＡ、ＥＧＳ、アンチセンス分子、ペプチド模倣剤、または低分子である、
組成物。
【請求項２】
第２の生物活性剤をさらに含み、前記第２の生物活性剤が、希突起膠細胞分化剤を含み、任意に、前記第２の生物活性剤が、Ｓｏｘ１０、Ｎｋｘ２．２、Ｏｌｉｇ１、Ｏｌｉｇ２、またはこれらの組合せの活性を促進する、請求項１に記載の組成物。
【請求項３】
前記神経障害は、
（ｉ）脱髄を含むか、または
（ｉｉ）多発性硬化症である、
請求項１に記載の組成物。

【請求項４】
被験体における神経障害の治療における使用のための、請求項１に記載の組成物。
【請求項５】
被験体における再有髄化の促進における使用のための、請求項１に記載の組成物。
【請求項６】
幹細胞の希突起膠細胞への分化を促進する方法であって、前記幹細胞に生物活性剤を導入するステップを包含し、前記生物活性剤は、請求項１に記載の組成物であり、前記方法は、インビボ法ではない、組成物。
【請求項７】
ＭＲＦ活性を調節するのに有効な請求項１に記載の生物活性剤をスクリーニングする方法であって、
（ａ）被験細胞を、候補生物活性剤と接触させるステップと、
（ｂ）対照動物と比較したＭＲＦの発現レベルの変化についてアッセイするステップとを含む方法であって、前記変化が、前記生物活性剤がＭＲＦ活性を調節することを示す、組成物。
【請求項８】
動物における有髄化および／または再有髄化を促進するのに有効な請求項１に記載の生物活性剤をスクリーニングする方法であって、
（ａ）候補生物活性剤を非ヒト動物に投与するステップと、
（ｂ）対照非ヒト動物と比較したＭＲＦの発現レベルの上昇についてアッセイするステップであって、ここで、前記上昇は、前記生物活性剤が前記非ヒト動物における有髄化を促進することを示すステップと
を含む方法。
【請求項９】
ＭＲＦ導入遺伝子を含むトランスジェニック非ヒト動物であって、前記ＭＲＦ導入遺伝子は、神経細胞特異的な調節エレメントに作動的に連結される、トランスジェニック非ヒト動物。
【請求項１０】
前記ＭＲＦ導入遺伝子が、リコンビナーゼ部位に隣接する、請求項９に記載のトランスジェニック非ヒト動物。
【請求項１１】
請求項９に記載のトランスジェニック非ヒト動物であって、前記動物はリコンビナーゼ導入遺伝子を含み、任意に、
（ｉ）前記リコンビナーゼ導入遺伝子は、細胞型特異的調節エレメントに作動的に連結されるか、または、
（ｉｉ）前記リコンビナーゼはＣｒｅリコンビナーゼもしくはＦｌｐである、
トランスジェニック非ヒト動物。
【請求項１２】
動物における有髄化および／または再有髄化を促進するのに有効な候補生物活性剤をスクリーニングする方法であって、
（ａ）候補生物活性剤を、請求項９に記載の非ヒト動物に投与するステップ；
（ｂ）対照非ヒト動物と比較した、図５中の少なくとも１つの遺伝子の発現レベルの上昇についてアッセイするステップであって、ここで、前記上昇は、前記生物活性剤が前記非ヒト動物における有髄化を促進することを示すステップ；および／または
（ｃ）前記対照非ヒト動物と比較した、前記非ヒト動物における有髄化の変化を観察するステップ
を含む方法。
【請求項１３】
ＭＲＦまたはその機能的な変異体をコードする核酸配列に作動的に連結された神経細胞型特異的な発現調節エレメントを含む、単離核酸分子。

【請求項１４】
請求項１３に記載の単離核酸分子であって、
ｉ）前記神経細胞型特異的な発現調節エレメントが、膠細胞特異的な発現調節エレメントであり、任意に、前記膠細胞特異的な発現調節エレメントが、希突起膠細胞特異的発現調節エレメント、希突起膠細胞の前駆細胞特異的発現調節エレメント、シュワン細胞特異的発現調節エレメント、星状細胞特異的発現調節エレメント、もしくは小膠細胞特異的発現調節エレメントであるか、または
ｉｉ）前記神経細胞特異的な調節エレメントが、ミエリン塩基性タンパク質（ＭＢＰ）遺伝子、セラミドガラクトシルトランスフェラーゼ（ＣＧＴ）遺伝子、希突起膠細胞－ミエリン糖タンパク質（ＯＭＧ）遺伝子、サイクリックヌクレオチドホスホジエステラーゼ（ＣＮＰ）遺伝子、ＮＯＧＯ遺伝子、ミエリンタンパク質ゼロ（ＭＰＺ）遺伝子、末梢ミエリンタンパク質２２（ＰＭＰ２２）遺伝子、プロテイン２（Ｐ２）遺伝子、ＧＦＡＰ遺伝子、ＡＱＰ４遺伝子、ＰＤＧＦ遺伝子、ＲＧ５遺伝子、ｐ糖タンパク質遺伝子、ニューレルツリン（ＮＲＴＮ）遺伝子、アルテミン（ＡＲＴＮ）遺伝子、ペルセフィン（ＰＳＰＮ）遺伝子、スルファチド遺伝子もしくはプロテオリピドタンパク質（ＰＬＰ）遺伝子、Ｏｌｉｇ１遺伝子、もしくはＯｌｉｇ２遺伝子に由来するか
のいずれかである、請求項１３に記載の単離核酸分子。
【請求項１５】
請求項１３に記載の単離核酸分子を含む、ベクターまたは宿主細胞。