

【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31年2月14日 (2019.2.14)

【公表番号】特表2018-502579(P2018-502579A)

【公表日】平成30年2月1日 (2018.2.1)

【年通号数】公開・登録公報2018-004

【出願番号】特願2017-536359(P2017-536359)

【国際特許分類】

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 P 37/04 (2006.01)

A 6 1 P 29/00 (2006.01)

A 6 1 P 13/12 (2006.01)

A 6 1 P 1/16 (2006.01)

A 6 1 P 1/00 (2006.01)

A 6 1 P 9/14 (2006.01)

A 6 1 P 19/02 (2006.01)

A 6 1 P 11/00 (2006.01)

A 6 1 P 19/06 (2006.01)

C 1 2 N 5/0775 (2010.01)

【 F I 】

C 1 2 N 5/10 Z N A

C 1 2 N 15/00 A

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 37/04

A 6 1 P 29/00

A 6 1 P 13/12

A 6 1 P 1/16

A 6 1 P 1/00

A 6 1 P 9/14

A 6 1 P 29/00 1 0 1

A 6 1 P 19/02

A 6 1 P 11/00

A 6 1 P 19/06

C 1 2 N 5/0775

【手続補正書】

【提出日】平成31年1月4日 (2019.1.4)

【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】

1- アンチトリプシン (AAT) 欠乏症を伴わない被験体における炎症及び / 又は不所望な免疫応答と関連した医学的状態の治療における医薬として使用するための遺伝子改変された間葉系幹細胞を含む医療用薬剤であって、前記幹細胞は、(ii) プロモーター又はプ

ロモーター／エンハンサーの組合せ物に作動可能に連結された、(i) 1-アンチトリプシン (AAT) をコードする領域を含む外因性核酸を含む、医薬として使用するための遺伝子改変された間葉系幹細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 2】

前記外因性核酸が、ウイルスベクターからなる若しくは該ベクターを含む、請求項1に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 3】

前記ウイルスベクターが、レンチウイルスベクターである、請求項2に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 4】

前記プロモーター又はプロモーター／エンハンサーの組合せ物が、構成的プロモーターである、請求項1～3のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 5】

前記構成的プロモーターが、EFSプロモーター、PGKプロモーター又はEF1 プロモーターである、請求項4に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 6】

前記プロモーター又はプロモーター／エンハンサーの組合せ物が、誘導性プロモーターである、請求項1～3のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 7】

前記プロモーターが、投与後に前記細胞の分化に際して誘導可能である又は炎症特異的プロモーターである、請求項6に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 8】

前記プロモーターが、Tie2プロモーター若しくはRANTESプロモーター若しくはHSP70プロモーターである、請求項6に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 9】

前記細胞が、治療的に有効な数の細胞を患者の血流中へ若しくは静脈注射を介して血流中へ導入することによって投与される、請求項1～8のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 10】

前記炎症及び／又は不所望な免疫応答と関連した医学的状態が、肺疾患である、請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 11】

前記肺疾患が、呼吸器疾患である、請求項10に記載の肺疾患の治療における医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 12】

前記肺疾患が、急性肺損傷、慢性気管支炎を含む慢性閉塞性肺疾患 (COPD)、肺気腫、気管支拡張及び細気管支炎、急性呼吸窮迫症候群、喘息、類肉腫症、過敏性肺炎及び／又は肺線維症である、請求項10に記載の肺疾患の治療における医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 13】

前記細胞が、治療的に有効な数の細胞を吸入によって患者の肺へと導入することによって投与される、又は、前記細胞が、治療的に有効な数の細胞を吸入によって患者の肺へと導入することと該細胞を患者の血流中へと導入することとを組み合わせることによって投与される、請求項10に記載の肺疾患の治療における医薬として使用するための遺伝子改変

された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 1 4】

前記炎症及び／又は不所望な免疫応答と関連した医学的状態が痛風である、請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 1 5】

前記炎症及び／又は不所望な免疫応答と関連した医学的状態が慢性線維症である、請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 1 6】

炎症性疾患及び／又は慢性線維性疾患が、被験体の腎臓、肝臓及び／又は結腸の疾患である、請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 1 7】

前記炎症及び／又は不所望な免疫応答と関連した医学的状態が、血管炎、腎炎、炎症性腸疾患、リウマチ様関節炎及び／又は対宿主性移植片病から選択される炎症性疾患である、請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 1 8】

前記炎症及び／又は不所望な免疫応答と関連した医学的状態が自己免疫疾患である、請求項1～9のいずれか一項に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。

【請求項 1 9】

前記自己免疫疾患が1型糖尿病である、請求項18に記載の医薬として使用するための遺伝子改変された細胞を含む医療用薬剤。