

【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】平成26年10月16日 (2014.10.16)

【公開番号】特開2014-88432(P2014-88432A)

【公開日】平成26年5月15日 (2014.5.15)

【年通号数】公開・登録公報2014-025

【出願番号】特願2014-7144(P2014-7144)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/28 (2006.01)

A 6 1 K 35/12 (2006.01)

A 6 1 P 1/04 (2006.01)

A 6 1 P 1/00 (2006.01)

A 6 1 P 29/00 (2006.01)

A 6 1 P 3/10 (2006.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

A 6 1 P 9/10 (2006.01)

A 6 1 P 17/02 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K 35/28

A 6 1 K 35/12

A 6 1 P 1/04

A 6 1 P 1/00

A 6 1 P 29/00

A 6 1 P 3/10

A 6 1 P 21/04

A 6 1 P 9/10

A 6 1 P 17/02

A 6 1 P 35/00

【手続補正書】

【提出日】平成26年8月29日 (2014.8.29)

【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】

胃腸障害に罹患した被験体を治療するための医薬の製造のための、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の使用であって、

治療が、被験体の血流の中への遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数の導入を含み、

(a) 遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の各々が (i) 内皮細胞増殖を促進するタ
ンパク質をコードする領域を含む外来性核酸を含み、その領域は (i i) 内皮特異的プロ
モーターまたはプロモーター / エンハンサー組合せへ作動可能に連結され、

(b) 被験体の骨髓除去が、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の導入に先行して行
われないか同時に行われないかまたは後続して行われない、および

(c) 胃腸障害が胃腸内皮における細胞増殖の必要性によって特徴づけられる、使用。

【請求項 2】

前記被験体がヒトである、請求項 1 に記載の使用。

【請求項 3】

前記胃腸障害が、大腸炎、潰瘍性大腸炎、炎症性腸管障害またはクローン病である、請求項 2 に記載の使用。

【請求項 4】

前記プロモーター／エンハンサー組合せが T i e 2 プロモーター／エンハンサーであり、内皮細胞増殖を促進する前記タンパク質が血管内皮細胞増殖因子（V E G F）である、請求項 2 に記載の使用。

【請求項 5】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して同種異系である、請求項 2 に記載の使用。

【請求項 6】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して自己である、請求項 2 に記載の使用。

【請求項 7】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数が、約 1×10^3 ~ 約 1×10^7 細胞 / k g 体重である、請求項 2 に記載の使用。

【請求項 8】

糖尿病被験体または前糖尿病性被験体を治療するための医薬の製造のための、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の使用であって、

治療が、被験体の血流の中への遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数の導入を含み、

（ a ）遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の各々が（ i ）内皮細胞増殖を促進するタンパク質をコードする領域を含む外来性核酸を含み、その領域は（ i i ）内皮特異的なプロモーターまたはプロモーター／エンハンサー組合せへ作動可能に連結され、および

（ b ）被験体の骨髄除去が、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の導入に先行して行われなかつ同時に行われなかつまたは後続して行われなかつ、使用。

【請求項 9】

前記被験体がヒトである、請求項 8 に記載の使用。

【請求項 10】

前記被験体が前糖尿病性である、請求項 9 に記載の使用。

【請求項 11】

前記前糖尿病性被験体が I 型糖尿病について前糖尿病性である、請求項 10 に記載の使用。

【請求項 12】

前記前糖尿病性被験体が I I 型糖尿病について前糖尿病性である、請求項 10 に記載の使用。

【請求項 13】

前記被験体が糖尿病である、請求項 9 に記載の使用。

【請求項 14】

前記糖尿病被験体が I 型糖尿病に罹患する、請求項 13 に記載の使用。

【請求項 15】

前記糖尿病被験体が I I 型糖尿病に罹患する、請求項 13 に記載の使用。

【請求項 16】

前記プロモーター／エンハンサー組合せが T i e 2 プロモーター／エンハンサーであり、内皮細胞増殖を促進する前記タンパク質が血管新生に関連した血管内皮細胞増殖因子（V E G F）である、請求項 9 に記載の使用。

【請求項 17】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して同種異系である、請求

項 9 に記載の使用。

【請求項 18】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して自己である、請求項 9 に記載の使用。

【請求項 19】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数が、約 1×10^3 ~ 約 1×10^7 細胞 / k g 体重である、請求項 9 に記載の使用。

【請求項 20】

筋ジストロフィーに罹患した被験体を治療するための医薬の製造のための、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の使用であって、

治療が、被験体の血流の中への遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数の導入を含み、

(a) 遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の各々が (i) 被験体の筋細胞に不在であるかもしくは低発現であるか、または被験体の筋細胞における過剰発現が所望されるタンパク質をコードする領域を含む外来性核酸を含み、その領域は (i i) 筋肉特異的プロモーターまたは筋肉特異的プロモーター / エンハンサー組合せへ作動可能に連結され、および

(b) 被験体の骨髄除去が、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の導入に先行して行われなかつ同時に行われなかつまたは後続して行われなかつ、使用。

【請求項 21】

前記被験体がヒトである、請求項 20 に記載の使用。

【請求項 22】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して同種異系である、請求項 21 に記載の使用。

【請求項 23】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して自己である、請求項 21 に記載の使用。

【請求項 24】

前記被験体が、デュシェンヌ型筋ジストロフィーまたはベッカー型筋ジストロフィーに罹患する、請求項 21 に記載の使用。

【請求項 25】

前記筋肉特異的プロモーター / エンハンサー組合せが M y o D プロモーター / エンハンサーであり、前記の被験体の筋細胞に不在のタンパク質がジストロフィンである、請求項 24 に記載の使用。

【請求項 26】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して同種異系である、請求項 25 に記載の使用。

【請求項 27】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して自己である、請求項 25 に記載の使用。

【請求項 28】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数が、約 1×10^3 ~ 約 1×10^7 細胞 / k g 体重である、請求項 21 に記載の使用。

【請求項 29】

手術をこれから受けるか受けているかまたは受けた被験体の微小循環および / または急性創傷治療を改善するための医薬の製造のための、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の使用であって、

改善が、被験体の血流の中への遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数の導入を含み、

(a) 遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の各々が (i) 内皮細胞増殖を促進するタ

ンパク質をコードする領域を含む外来性核酸を含み、その領域は (i i) 内皮特異的なプロモーターまたはプロモーター / エンハンサー組合せへ作動可能に連結され、および
(b) 被験体の骨髄除去が、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の導入に先行して行
われないか同時に行われないかまたは後続して行われない、使用。

【請求項 3 0】

前記被験体がヒトである、請求項 2 9 に記載の使用。

【請求項 3 1】

前記手術が、腹部手術、胸部手術、脳手術または形成手術である、請求項 3 0 に記載の使用。

【請求項 3 2】

前記手術が腹腔鏡下手術である、請求項 3 0 に記載の使用。

【請求項 3 3】

前記手術が開腹手術である、請求項 3 0 に記載の使用。

【請求項 3 4】

前記プロモーター / エンハンサー組合せが T i e 2 プロモーター / エンハンサーであり、内皮細胞増殖を促進する前記タンパク質が血管新生に関連した血管内皮細胞増殖因子 (V E G F) である、請求項 3 0 に記載の使用。

【請求項 3 5】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して同種異系である、請求項 3 0 に記載の使用。

【請求項 3 6】

前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が、被験体に関して自己である、請求項 3 0 に記載の使用。

【請求項 3 7】

前記遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数が、約 1×10^3 ~ 約 1×10^7 細胞 / k g 体重である、請求項 3 0 に記載の使用。

【請求項 3 8】

物理的外傷をこれから受けるか受けているかまたは受けた被験体の微小循環および / または急性創傷治癒を改善するための医薬の製造のための、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の使用であって、

改善が、被験体の血流の中への遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の治療上効果的な数の導入を含み、

(a) 遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の各々が (i) 内皮細胞増殖を促進するタンパク質をコードする領域を含む外来性核酸を含み、その領域は (i i) 内皮特異的なプロモーターまたはプロモーター / エンハンサー組合せへ作動可能に連結され、および

(b) 被験体の骨髄除去が、遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞の導入に先行して行われないか同時に行われないかまたは後続して行われない、使用。

【請求項 3 9】

前記被験体がヒトである、請求項 3 8 に記載の使用。

【請求項 4 0】

前記物理的外傷が出産である、請求項 3 9 に記載の使用。

【請求項 4 1】

前記物理的外傷が暴力行為によって引き起こされた軽傷であり、前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が物理的外傷の直後に被験体の血流の中へ導入される、請求項 3 9 に記載の使用。

【請求項 4 2】

前記物理的外傷が熱傷であり、前記の遺伝的に修飾された C D 3 4⁺ 幹細胞が物理的外傷の直後に被験体の血流の中へ導入される、請求項 3 9 に記載の使用。

【請求項 4 3】

前記プロモーター / エンハンサー組合せが T i e 2 プロモーター / エンハンサーであり

、内皮細胞増殖を促進する前記タンパク質が血管新生に関連した血管内皮細胞増殖因子（VEGF）である、請求項３８に記載の使用。

【請求項４４】

前記の遺伝的に修飾されたＣＤ３４⁺幹細胞が、被験体に関して同種異系である、請求項３９に記載の使用。

【請求項４５】

前記の遺伝的に修飾されたＣＤ３４⁺幹細胞が、被験体に関して自己である、請求項３９に記載の使用。

【請求項４６】

前記の遺伝的に修飾されたＣＤ３４⁺幹細胞の治療上効果的な数が、約 1×10^3 ～ 約 1×10^7 細胞 / k g 体重である、請求項３９に記載の使用。