

【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 4 年 11 月 17 日(2022.11.17)

【公開番号】特開 2022-153630(P2022-153630A)

【公開日】令和 4 年 10 月 12 日(2022.10.12)

【年通号数】公開公報(特許)2022-187

【出願番号】特願 2022-124147(P2022-124147)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/30(2015.01)

A 6 1 P 25/16(2006.01)

A 6 1 P 27/02(2006.01)

A 6 1 L 27/38(2006.01)

C 1 2 N 5/071(2010.01)

C 1 2 N 5/0735(2010.01)

10

【F I】

A 6 1 K 35/30

A 6 1 P 25/16

A 6 1 P 27/02

A 6 1 L 27/38 1 0 0

A 6 1 L 27/38 3 0 0

C 1 2 N 5/071

C 1 2 N 5/0735

20

【手続補正書】

【提出日】令和 4 年 11 月 8 日(2022.11.8)

【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】

30

【特許請求の範囲】

【請求項 1】

ヒト R P E 細胞を得るための方法であって、前記方法が、下記のステップ：

(a) h E S 細胞を、フィーダー細胞上でかつ L I F、F G F 及びプラズマネート (P l a s m a n a t e) の不存在下で、過剰増殖した h E S 細胞多層を形成するように、かつ色素性細胞暗色の島が前記多層中に出現するまで、培養するステップであって、色素性細胞の前記暗色の島が、茶色色素細胞質中に有する、敷石状単層中の堅く包まれた多角細胞を含む、上記ステップ

(b) 色素性細胞を単離し及び培養し、それによってヒト R P E 細胞を得るステップ、を含む、上記方法。

40

【請求項 2】

前記ヒト R P E 細胞が、C R A L B P、R P E 6 5、ベストロフィン、及び P E D F を発現する、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 3】

ステップ (b) において培養された際の前記色素性細胞が、上皮細胞に特有の、敷石状単層中の堅く包まれた多角細胞としての外観を呈する、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 4】

ステップ (a) での培養する期間が、少なくとも 6 週間、又は 6 週間から 8 週間の間で

50

ある、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 5】

ステップ (a) での培養する期間が、少なくとも 6 週間、又は 6 週間から 8 週間の間である、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 6】

ヒト R P E 細胞を得るための方法であって、前記方法が、下記のステップ：

(a) h E S 細胞を、F G F、L I F 及びプラズマネート (P l a s m a n a t e) を含まない培地で培養して胚様体 (E B) を生成し、色素性上皮細胞を前記胚様体に出現させるステップ、及び

(b) 色素性上皮細胞を単離し及び培養し、それによってヒト R P E 細胞を得るステップ、を含む、上記方法。 10

【請求項 7】

前記ヒト R P E 細胞が、C R A L B P、R P E 6 5、ベストロフィン、及び P E D F を発現する、請求項 6 又は 7 に記載の方法。

【請求項 8】

ステップ (b) において培養された際の前記色素性細胞が、上皮細胞に特有の、敷石状単層中の堅く包まれた多角細胞としての外観を呈する、請求項 6 ~ 8 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 9】

ステップ (a) での培養する期間が、少なくとも 6 週間、又は 6 週間から 8 週間の間である、請求項 6 ~ 9 のいずれか一項に記載の方法。 20

【請求項 10】

ヒト網膜色素上皮 (R P E) 細胞の純化された製剤の、前記ヒト R P E 細胞の注射又は移植を必要とする個体の目の中への注射又は移植による網膜変性の治療のための医薬の製造における使用であって、前記ヒト R P E 細胞が、R P E 6 5 及びベストロフィンを発現する、上記使用；

前記ヒト R P E 細胞は、下記のステップを含む方法により得られるヒト R P E 細胞である：

(a) h E S 細胞を培養し、 30

(i) フィーダー細胞上でかつ L I F、F G F 及びプラズマネート (P l a s m a n a t e) の不存在下で、過剰増殖により多層を形成させ、または

(ii) 懸濁液中において前記 h E S 細胞を培養して胚様体を形成させ、

前記多層または胚様体を色素性細胞が現れるまで培養し、該色素性細胞を培養するステップ、及び

(b) 前記色素性細胞を単離し及び培養し、それによって R P E 細胞を得るステップ。

【請求項 11】

R P E 細胞調製物が細胞懸濁液として存在する請求項 10 又は 11 に記載の使用。

【請求項 12】

R P E 細胞調製物が単層中に存在する、請求項 10 ~ 12 のいずれか一項に記載の使用 40

【請求項 13】

R P E 細胞調製物が単層として堆積するマトリックス又は基質をさらに含む、請求項 10 ~ 13 のいずれかに記載の使用。

【請求項 14】

マトリックス又は基質が、ゼラチン、フィブロネクチン、ラミニン、コラーゲン、又は細胞外マトリックスの少なくとも一つによりコートされている、請求項 10 ~ 14 のいずれかに記載の使用。

【請求項 15】

ヒト R P E 細胞が、C R A L B P 及び P E D F を発現する、請求項 10 ~ 15 のいずれ 50

かに記載の使用。

【請求項 16】

ヒト R P E 細胞が、加齢黄斑変性症、スタルガルト (S t a r g a r d t) 病、又は病的近視の治療のために用いられる、請求項 10 ~ 16 のいずれかに記載の使用。

【請求項 17】

ヒト R P E 細胞が網膜下空間の中に注射又は移植される、請求項 10 ~ 17 のいずれかに記載の使用。

【請求項 18】

ヒト R P E 細胞の網膜下空間の中への注射又は移植が、硝子体切除術の手術により行われる、請求項 10 ~ 18 のいずれかに記載の使用。

10

20

30

40

50