

【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31年1月10日 (2019.1.10)

【公開番号】特開2018-184448(P2018-184448A)

【公開日】平成30年11月22日 (2018.11.22)

【年通号数】公開・登録公報2018-045

【出願番号】特願2018-139536(P2018-139536)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/28 (2015.01)

A 6 1 K 35/51 (2015.01)

A 6 1 P 3/00 (2006.01)

A 6 1 P 7/00 (2006.01)

A 6 1 P 7/06 (2006.01)

A 6 1 P 13/02 (2006.01)

A 6 1 P 25/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

A 6 1 P 37/02 (2006.01)

A 6 1 K 9/06 (2006.01)

C 1 2 N 5/0789 (2010.01)

【F I】

A 6 1 K 35/28 Z N A

A 6 1 K 35/51

A 6 1 P 3/00

A 6 1 P 7/00

A 6 1 P 7/06

A 6 1 P 13/02

A 6 1 P 25/00

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 35/02

A 6 1 P 37/02

A 6 1 K 9/06

C 1 2 N 5/0789

【手続補正書】

【提出日】平成30年11月9日 (2018.11.9)

【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】

細胞療法を必要とする被験体における細胞療法での使用のための組成物であって、少なくとも百万個のヒト造血幹細胞または前駆細胞を含む細胞集団を含み、C X C R 4 の遺伝子発現が、該造血幹細胞または前駆細胞において、対照の造血幹細胞または前駆細胞における C X C R 4 の発現と比較して少なくとも 5 倍増大している、組成物。

【請求項 2】

細胞療法のための医薬の調製のための 1 または複数の薬剤の使用であって、該 1 または

複数の薬剤が、造血幹細胞および前駆細胞と *ex vivo* において接触させられ、C X C R 4 の遺伝子発現が、該造血幹細胞または前駆細胞において、対照の造血幹細胞または前駆細胞における C X C R 4 の発現と比較して増大している、使用。

【請求項 3】

前記 C X C R 4 発現の増大が、プロスタグランジン E 2 (P G E ₂) または d m P G E ₂ 活性を有する薬剤からなる群より選択される 1 または複数の薬剤によって生じる、請求項 1 に記載の使用のための組成物。

【請求項 4】

前記 C X C R 4 発現の増大が、プロスタグランジン E 2 (P G E ₂) または d m P G E ₂ 活性を有する薬剤からなる群より選択される 1 または複数の薬剤によって生じる、請求項 2 に記載の使用。

【請求項 5】

少なくとも五百万個の造血幹細胞または前駆細胞を含む、請求項 1 または 3 に記載の使用のための組成物。

【請求項 6】

前記造血幹細胞または前駆細胞がヒトの造血幹細胞または前駆細胞である、請求項 1、3 および 5 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 7】

前記造血幹細胞または前駆細胞がヒトの造血幹細胞または前駆細胞である、請求項 2 または 4 に記載の使用。

【請求項 8】

前記造血幹細胞または前駆細胞が、人工多能性幹細胞 (i P S C) から得られる、請求項 1、3、5 および 6 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 9】

前記造血幹細胞または前駆細胞が、人工多能性幹細胞 (i P S C) から得られる、請求項 2、4 および 7 のいずれか一項に記載の使用。

【請求項 10】

前記 C X C R 4 遺伝子発現の増大が、前記薬剤との接触の少なくとも 2 時間後に観察される、請求項 3、5、6 および 8 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 11】

前記 C X C R 4 遺伝子発現の増大が、前記薬剤との接触の少なくとも 2 時間後に観察される、請求項 2、4、7 および 9 のいずれか一項に記載の使用。

【請求項 12】

前記医薬が細胞移植体である、請求項 2、4、7、9 および 11 のいずれか一項に記載の使用。

【請求項 13】

前記 1 または複数の薬剤が、患者への前記医薬の投与前 24 時間以内に、*ex vivo* において造血幹細胞および前駆細胞と接触させられる、請求項 2、4、7、9、11 および 12 のいずれか一項に記載の使用。

【請求項 14】

前記造血幹細胞または前駆細胞が、
a . 少なくとも 95 % が C D 3 4 ⁺ の細胞 ;
b . 30 % 未満が C D 1 4 ⁺、C D 4 5 ⁻、V W F ⁺、C D 7 3 ⁺ かつ C D 1 4 0 B ⁺ の細胞 ;
c . C D 3 4 ⁺ であるが C D 1 4、V W F、C D 7 3 および C D 1 4 0 B について陰性である造血幹細胞または前駆細胞 ;
d . C D 3 4 ⁺、C D 5 9 ⁺、T h y / C D 9 0 ⁺、C D 3 8 ^{1 0} / ⁻、C - k i t / C D 1 1 7 ⁺ かつ L i n (-) の細胞 ; または
e . C D 3 4 ⁻ / C D 3 8 ⁻ の造血幹細胞
を含む、請求項 1、3、5、6、8 および 10 のいずれか一項に記載の使用のための組成

物。

【請求項 15】

前記造血幹細胞または前駆細胞が、

a . 少なくとも 95 % が C D 3 4 ⁺ の細胞；

b . 30 % 未満が C D 1 4 ⁺、C D 4 5 ⁻、V W F ⁺、C D 7 3 ⁺ かつ C D 1 4 0 B ⁺ の細胞；

c . C D 3 4 ⁺ であるが C D 1 4、V W F、C D 7 3 および C D 1 4 0 B について陰性である造血幹細胞または前駆細胞；

d . C D 3 4 ⁺、C D 5 9 ⁺、T h y / C D 9 0 ⁺、C D 3 8 ^{1 0} / ⁻、C - k i t / C D 1 1 7 ⁺ かつ L i n (-) の細胞；または

e . C D 3 4 ⁻ / C D 3 8 ⁻ の造血幹細胞

を含む、請求項 2、4、7、9 および 11 ~ 13 のいずれか一項に記載の使用。

【請求項 16】

前記組成物が、

a . 5 % 未満の間葉系幹細胞；

b . 5 % 未満の内皮前駆細胞；または

c . 10 % 以下の間葉系幹細胞または内皮前駆細胞

を含む、請求項 1、3、5、6、8、10 および 14 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 17】

前記使用が遺伝子治療である、請求項 1 に記載の使用のための組成物。

【請求項 18】

請求項 1、3、5、6、8、10、14、16 および 17 のいずれか一項に記載の使用のための組成物であって、

a . 前記被験体が、急性骨髄性白血病 (A M L)、急性リンパ芽球性白血病 (A L L)、慢性骨髄性白血病 (C M L)、慢性リンパ性白血病 (C L L)、若年性骨髄単球性白血病、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫、重症再生不良性貧血、ファンコニー貧血、発作性夜間血色素尿症 (P N H)、赤芽球ろう、無巨核球症 / 先天性血小板減少症、重症複合型免疫不全症 (S C I D)、ウィスコット - アルドリッチ症候群、ベータサラセミアメジャー、鎌状赤血球症、ハーラー症候群、副腎脳白質ジストロフィー、異染性白質萎縮症、脊髄形成異常症、不応性貧血、慢性骨髄単球性白血病、原因不明骨髄様化生、家族性血球貪食性リンパ組織球症、または充実性腫瘍を有する；あるいは

b . 前記被験体が、乳がん、卵巣がん、脳のがん、前立腺がん、肺がん、結腸がん、皮膚がん、肝臓がん、膵臓がん、または肉腫を有する；あるいは

c . 前記被験体が、骨髄除去的化学療法もしくは骨髄除去的放射線療法、または非骨髄破壊的化学療法もしくは非骨髄破壊的放射線療法を受けている；あるいは

d . 前記被験体が骨髄ドナーである、

組成物。

【請求項 19】

造血幹細胞または前駆細胞の生着の増大またはホーミングの増大を必要とする被験体において、造血幹細胞または前駆細胞の生着の増大またはホーミングの増大に使用するための組成物であって、少なくとも百万個のヒト造血幹細胞または前駆細胞を含む細胞集団を含み、C X C R 4 の遺伝子発現が、該造血幹細胞または前駆細胞において、対照の造血幹細胞または前駆細胞における C X C R 4 の発現と比較して少なくとも 5 倍増大している、組成物。