【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】令和2年12月24日(2020.12.24)

【公表番号】特表2020-500020(P2020-500020A)
【公表日】令和2年1月9日(2020.1.9)
【年通号数】公開・登録公報2020-001
【出願番号】特願2019-524896(P2019-524896)
【国際特許分類】
Ｃ１２Ｎ　15/63　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/62　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/113　(2010.01)
Ｃ１２Ｎ　15/12　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/86　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/861　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/864　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/869　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/867　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　5/10　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/88　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/07　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　7/00　(2006.01)
Ｃ０７Ｋ　16/18　(2006.01)
Ｃ１２Ｎ　15/13　(2006.01)
Ｃ０７Ｋ　16/46　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　3/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　9/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　25/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　25/08　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　25/02　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　27/02　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　35/00　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　35/02　(2006.01)
Ａ６１Ｐ　21/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　35/12　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/13　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/15　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/28　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/33　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/34　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/407　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/44　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/36　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　38/02　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　45/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　48/00　(2006.01)
Ａ６１Ｋ　35/768　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/76　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/761　(2015.01)
Ａ６１Ｋ　35/763　(2015.01)

A61K 35/765 (2015.01)
A61K 35/766 (2015.01)
A61K 39/39 (2006.01)
A61K 39/00 (2006.01)
A61K 31/7088 (2006.01)
A61K 9/127 (2006.01)
A61K 47/42 (2017.01)
A61K 47/69 (2017.01)
C12P 21/08 (2006.01)

【FI】

C12N 15/63 ZNAZ
C12N 15/62 Z
C12N 15/113 Z
C12N 15/12
C12N 15/86 Z
C12N 15/861 Z
C12N 15/864 100Z
C12N 15/869 Z
C12N 15/864 Z
C12N 15/867 Z
C12N 5/10
C12N 15/88 Z
C12N 15/07
C12N 7/00
C07K 16/18
C12N 15/13
C07K 16/46
A61P 3/00
A61P 9/00
A61P 25/00
A61P 25/08
A61P 25/02 101
A61P 27/02
A61P 35/00
A61P 35/02
A61P 21/00
A61K 35/12
A61K 35/13
A61K 35/15 Z
A61K 35/28
A61K 35/33
A61K 35/34
A61K 35/407
A61K 35/44
A61K 35/36
A61K 38/02
A61K 45/00
A61K 48/00
A61K 35/768
A61K 35/76

Ａ６１Ｋ　35/761
Ａ６１Ｋ　35/763
Ａ６１Ｋ　35/765
Ａ６１Ｋ　35/766
Ａ６１Ｋ　39/39
Ａ６１Ｋ　39/00　H
Ａ６１Ｋ　31/7088
Ａ６１Ｋ　9/127
Ａ６１Ｋ　47/42
Ａ６１Ｋ　47/69
Ｃ１２Ｐ　21/08

【手続補正書】
【提出日】令和2年11月9日(2020.11.9)
【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】
配列番号１、３、９、１１、１３、１５、またはその変異体のいずれかから選択されるアミノ酸配列を含むポリペプチドをコードする核酸を含む発現ベクター。
【請求項２】
前記核酸が、
ａ）１～４個の変異を有する配列番号１を含むポリペプチド；
ｂ）配列番号１からなるポリペプチド；
ｃ）１～４個の変異を有する配列番号３を含むポリペプチド；
ｄ）配列番号３からなるポリペプチド；
ｅ）タグと融合した配列番号１もしくは配列番号３またはその変異体を含むポリペプチド；
ｆ）配列番号２または配列番号４を含むポリペプチド；または
ｇ）配列番号２または配列番号４からなるポリペプチド
をコードする、請求項１に記載のベクター。
【請求項３】
Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドまたはその変異体をコードする第２の核酸をさらに含む、請求項１または２に記載のベクター。
【請求項４】
前記第２の核酸が、
ａ）配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含むＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチド；
ｂ）配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなるＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチド；
ｃ）配列番号１６を含むＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチド；
ｄ）配列番号１６からなるＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチド；
ｅ）配列番号１７を含むＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチド；または
ｆ）配列番号１７からなるＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチド
をコードする、請求項３に記載のベクター。
【請求項５】
前記ベクターが、プラスミド、コスミド、ＲＮＡ、またはウイルスベクターから選択さ

れる、請求項１～４のいずれか一項に記載のベクター。
【請求項６】
請求項１～５のいずれか一項に記載の前記ベクターを含む細胞。
【請求項７】
請求項１～６のいずれか一項に記載の前記ベクターおよびＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドまたはその変異体をコードする第２の核酸を含む第２のベクターを含む細胞。
【請求項８】
ａ）配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含むポリペプチド；
ｂ）配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなるポリペプチド；
ｃ）配列番号１またはその変異体からなるポリペプチド；または
ｄ）配列番号３またはその変異体からなるポリペプチド
を含む、リポソーム。
【請求項９】
Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをさらに含む、請求項８に記載のリポソーム。
【請求項１０】
第１の細胞を第２の細胞に融合する方法であって、前記方法が：
（ａ）ＭＩＮＩＯＮポリペプチドおよびＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドを発現する第１の細胞をもたらす工程と；
（ｂ）前記第１の細胞を、Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドを発現する第２の細胞と接触させる工程とを含み、
前記第１の細胞が前記第２の細胞と融合する、方法。
【請求項１１】
前記第１の細胞がさらに、目的の遺伝子を含み、前記細胞の前記融合により、前記目的の遺伝子を前記第２の細胞に送達するか、または前記第２の細胞がさらに、目的の遺伝子を含み、前記細胞の前記融合により、前記目的の遺伝子を前記第１の細胞に送達する、請求項１０に記載の方法。
【請求項１２】
ＭＩＮＩＯＮポリペプチドをコードする核酸およびＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをコードする核酸を含む腫瘍溶解性ウイルスまたは癌ワクチンを含有する、対象における癌を治療するための医薬組成物。
【請求項１３】
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、
ａ）配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む；
ｂ）配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる；
ｃ）配列番号１またはその変異体を含む；
ｄ）配列番号３またはその変異体を含む；
ｅ）配列番号１またはその変異体からなる；または
ｆ）配列番号３またはその変異体からなる、
請求項１０または１１に記載の方法、または請求項１２に記載の医薬組成物。
【請求項１４】
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、
ａ）配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む；
ｂ）配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる；
ｃ）配列番号１６またはその変異体を含む；または

ｄ）配列番号１６またはその変異体からなる、
請求項９に記載のリポソーム、請求項１０、１１もしくは１３に記載の方法、または請求項１２もしくは１３に記載の医薬組成物。
【請求項１５】
請求項６または７に記載の細胞を含む、対象における筋ジストロフィーを治療するための医薬組成物。

【手続補正２】
【補正対象書類名】明細書
【補正対象項目名】０３６３
【補正方法】変更
【補正の内容】
【０３６３】
本明細書では、特定の態様および特許請求の範囲について、詳細に開示してきたが、これは、例示のみを目的とする例としてなされたものであり、付属の特許請求の範囲、または任意の、対応する、将来の適用についての、特許請求の範囲の対象事物の範囲に関して、限定することを意図するものではない。特に、本発明者らは、特許請求の範囲により規定される、本開示の精神および範囲から逸脱しない限りにおいて、本開示に対して、多様な代替、改変、および変更が施され得ることを想定する。核酸の出発材料、目的のクローン、またはライブラリーの種類の選択は、本明細書で記載される態様について通じた当業者には、通例の事項であると考えられる。他の態様、利点、および変更も、以下の特許請求の範囲内にあると考えられる。当業者であれば、まさしく常用の実験を使用して、本明細に記載される本発明の特定の態様に対する多くの均等物を認識し、または確認することができるであろう。このような均等物は、以下の特許請求の範囲により包含されることが意図される。後で出願される対応する出願における請求項の範囲の書き直しは、種々の国の特許法による制限に基づくこともあり、請求項の対象事物の放棄と解釈されるべきではない。

本発明は以下の態様を含み得る。
［１］
配列番号１、３、９、１１、１３、１５、またはその変異体のいずれかから選択されるアミノ酸配列を含むポリペプチドをコードする核酸を含む発現ベクター。
［２］
前記核酸が、１～４個の変異を有する配列番号１を含むポリペプチドをコードする、請求項１に記載のベクター。
［３］
前記核酸が、配列番号１からなるポリペプチドをコードする、請求項１に記載のベクター。
［４］
前記核酸が、１～４個の変異を有する配列番号３を含むポリペプチドをコードする、請求項１に記載のベクター。
［５］
前記核酸が、配列番号３からなるポリペプチドをコードする、請求項１に記載のベクター。
［６］
前記核酸が、タグと融合した配列番号１もしくは配列番号３またはその変異体を含むポリペプチドをコードする、請求項１に記載のベクター。
［７］
前記タグが、ＨＡタグ（ＹＰＹＤＶＰＤＹＡ、配列番号３２）、Ｍｙｃタグ（ＥＱＫＬＩＳＥＥＤＬ、配列番号３３）、ＦＬＡＧタグ（ＤＹＫＤＤＤＤＫ、配列番号３４）、Ｈ

ｉｓタグ（ＨＨＨＨＨＨ、配列番号３５）、Ｅタグ（ＧＡＰＶＰＹＰＤＰＬＥＰＲ、配列番号３６）、Ｖ５タグ（ＧＫＰＩＰＮＰＬＬＧＬＤＳＴ、配列番号３７）、ＶＳＶタグ（ＹＴＤＩＥＭＮＲＬＧＫ、配列番号３８）、ポリグルタミン酸タグ（ＥＥＥＥＥＥ、配列番号３９）、ＡｖｉＴａｇ（ＧＬＮＤＩＦＥＡＱＫＩＥＷＨＥ、配列番号４０）、ＳＢＰタグ（ＭＤＥＫＴＴＧＷＲＧＧＨＶＶＥＧＬＡＧＥＬＥＱＬＲＡＲＬＥＨＨＰＱＧＱＲＥＰ、配列番号４１）、Ｓｔｒｅｐタグ（ＷＳＨＰＱＦＥＫ、配列番号４２）、Ｘｐｒｅｓｓタグ（ＤＬＹＤＤＤＤＫ、配列番号４３）、Ｓタグ（ＫＥＴＡＡＡＫＦＥＲＱＨＭＤＳ、配列番号４４）、Ｓｏｆｔａｇ　１（ＳＬＡＥＬＬＮＡＧＬＧＧＳ、配列番号４５）、Ｓｏｆｔａｇ　３（ＴＱＤＰＳＲＶＧ、配列番号４６）、カルモジュリンタグ（ＫＲＲＷＫＫＮＦＩＡＶＳＡＡＮＲＦＫＫＩＳＳＳＧＡＬ、配列番号４７）、ＴＣタグ（ＣＣＰＧＣＣ、配列番号４８）、Ｉｓｏｐｅｐｔａｇ（ＴＤＫＤＭＴＩＴＦＴＮＫＫＤＡＥ、配列番号４９）、ＳｐｙＴａｇ（ＡＨＩＶＭＶＤＡＹＫＰＴＫ、配列番号５０）、ＳｎｏｏｐＴａｇ（ＫＬＧＤＩＥＦＩＫＶＮＫ、配列番号５１）、グルタチオン－Ｓ－トランスフェラーゼ（ＧＳＴ）タグ、蛍光タンパク質タグ（例えば、ＧＦＰタグ）、マルトース結合タンパク質（ＭＢＰ）タグ、Ｈａｌｏタグ、またはチオレドキシンタグから選択される、請求項６に記載のベクター。

［８］

前記核酸が、配列番号２または配列番号４を含む、請求項１に記載のベクター。

［９］

前記核酸が、配列番号２または配列番号４からなる、請求項１に記載のベクター。

［１０］

プロモーターをさらに含む、請求項１～９のいずれか一項に記載のベクター。

［１１］

前記プロモーターが、構成的プロモーターである、請求項１０に記載のベクター。

［１２］

前記プロモーターが、誘導性プロモーターである、請求項１０に記載のベクター。

［１３］

ポリアデニル化シグナルをさらに含む、請求項１～１２のいずれか一項に記載のベクター。

［１４］

選択マーカーをさらに含む、請求項１～１３のいずれか一項に記載のベクター。

［１５］

Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドまたはその変異体をコードする第２の核酸をさらに含む、請求項１～１４のいずれか一項に記載のベクター。

［１６］

前記第２の核酸が、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含むＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをコードする、請求項１５に記載のベクター。

［１７］

前記第２の核酸が、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなるＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをコードする、請求項１５に記載のベクター。

［１８］

前記第２の核酸が、配列番号１６を含むＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをコードする、請求項１５に記載のベクター。

［１９］

前記第２の核酸が、配列番号１６からなるＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをコードする、請求項１５に記載のベクター。

［２０］

前記第２の核酸が、配列番号１７を含む、請求項１５に記載のベクター。

［２１］
前記第２の核酸が、配列番号１７からなる、請求項１５に記載のベクター。
［２２］
前記ベクターがさらに、前記第２の核酸の上流に配列内リボソーム進入部位または２Ａ配列を含む、請求項１５～２１のいずれか一項に記載のベクター。
［２３］
前記ベクターが、配列番号５２～６６のいずれか１つから選択される２Ａオリゴペプチドをコードする２Ａ配列を含む、請求項２２に記載のベクター。
［２４］
前記ベクターがさらに、前記第２の核酸の上流に第２のプロモーターを含む、請求項１５～２３のいずれか一項に記載のベクター。
［２５］
前記ベクターが、プラスミド、コスミド、ＲＮＡ、またはウイルスベクターから選択される、請求項１～２４のいずれか一項に記載のベクター。
［２６］
前記ウイルスベクターが、次のウイルス：アデノウイルス、アデノ随伴ウイルス、単純ヘルペスウイルス（ＨＳＶ）、パルボウイルス、レトロウイルス、レンチウイルス、ワクシニアウイルス、シンドビスウイルス、インフルエンザウイルス、レオウイルス、ニューカッスル病ウイルス（ＮＤＶ）、麻疹ウイルス、水疱性口内炎ウイルス（ＶＳＶ）、ポリオウイルス、ポックスウイルス、セネカバレーウイルス、コクサッキーウイルス、エンテロウイルス、粘液腫ウイルス、またはマラバウイルスのいずれかをベースにしたベクターから選択される、請求項２５に記載のベクター。
［２７］
請求項１～２６のいずれか一項に記載の前記ベクターを含む細胞。
［２８］
請求項１～１４のいずれか一項に記載の前記ベクターおよびＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドまたはその変異体をコードする第２の核酸を含む第２のベクターを含む細胞。
［２９］
前記細胞が、ヒト細胞である、請求項２７または２８に記載の細胞。
［３０］
前記細胞が、筋細胞、線維芽細胞、骨髄細胞、血液細胞、肝細胞、幹細胞、上皮細胞、内皮細胞、または腫瘍細胞から選択される、請求項２７～２９のいずれか一項に記載の細胞。
［３１］
前記細胞が、検出可能なマーカーを発現する、請求項２７～３０のいずれか一項に記載の細胞。
［３２］
配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含むポリペプチドを含むリポソーム。
［３３］
前記ポリペプチドが、配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項３２に記載のリポソーム。
［３４］
前記ポリペプチドが、配列番号１またはその変異体からなる、請求項３２に記載のリポソーム。
［３５］
前記ポリペプチドが、配列番号３またはその変異体からなる、請求項３２に記載のリポソーム。
［３６］
Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをさらに含む、請求項３２～３５のいずれか一項に記載

のリポソーム。
［３７］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む、請求項３６に記載のリポソーム。
［３８］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項３６に記載のリポソーム。
［３９］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体を含む、請求項３６に記載のリポソーム。
［４０］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体からなる、請求項３６に記載のリポソーム。
［４１］
治療薬をさらに含み、前記治療薬が前記リポソーム中に被包される、請求項３２～４０のいずれか一項に記載のリポソーム。
［４２］
前記治療薬が、核酸、タンパク質、低分子化合物、またはペプチド核酸から選択される、請求項４１に記載のリポソーム。
［４３］
治療薬を細胞に送達する方法であって、前記方法が、請求項４１または４２に記載の前記リポソームを前記細胞と接触させる工程を含み、前記リポソームが前記細胞と融合し、それにより前記治療薬を前記細胞に送達する、方法。
［４４］
前記細胞が、ヒト細胞である、請求項４３に記載の方法。
［４５］
前記細胞が、腫瘍細胞または機能障害性細胞である、請求項４３または４４に記載の方法。
［４６］
前記方法がインビトロで実施される、請求項４３～４５のいずれか一項に記載の方法。
［４７］
前記方法がインビボで実施される、請求項４３～４５のいずれか一項に記載の方法。
［４８］
第１の細胞を第２の細胞に融合する方法であって、前記方法が：
（ａ）ＭＩＮＩＯＮポリペプチドおよびＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドを発現する第１の細胞をもたらす工程と；
（ｂ）前記第１の細胞を、Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドを発現する第２の細胞と接触させる工程とを含み、
前記第１の細胞が前記第２の細胞と融合する、方法。
［４９］
第１の細胞を第２の細胞に融合する方法であって、前記方法が：
（ａ）ＭＩＮＩＯＮポリペプチドを発現する第１の細胞、および同型相互作用を媒介する受容体をもたらす工程と；
（ｂ）前記第１の細胞を、前記第１の細胞によって発現されるものと同一の前記受容体を発現する第２の細胞と接触させる工程とを含み、
前記第１の細胞が前記第２の細胞と融合する、方法。
［５０］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしく

は１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む、請求項４８または４９に記載の方法。
［５１］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項４８または４９に記載の方法。
［５２］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１またはその変異体を含む、請求項４８または４９に記載の方法。
［５３］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号３またはその変異体を含む、請求項４８または４９に記載の方法。
［５４］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１またはその変異体からなる、請求項４８または４９に記載の方法。
［５５］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号３またはその変異体からなる、請求項４８または４９に記載の方法。
［５６］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む、請求項４８および５０～５５のいずれか一項に記載の方法。
［５７］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項４８および５０～５５のいずれか一項に記載の方法。
［５８］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体を含む、請求項４８および５０～５５のいずれか一項に記載の方法。
［５９］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体からなる、請求項４８および５０～５５のいずれか一項に記載の方法。
［６０］
同型相互作用を媒介する前記受容体が、カドヘリン、セレクチン、クローディン、オクルーディン、接合部接着分子、またはトリセルリンから選択される、請求項４９～５９のいずれか一項に記載の方法。
［６１］
同型相互作用を媒介する前記受容体が、Ｎ－カドヘリン、Ｐ－カドヘリン、Ｅ－カドヘリン、またはＭ－カドヘリンから選択されるカドヘリンである、請求項４９～５９のいずれか一項に記載の方法。
［６２］
前記第１の細胞および前記第２の細胞が、ヒト細胞である、請求項４８～６１のいずれか一項に記載の方法。
［６３］
前記第１の細胞および前記第２の細胞が、筋細胞、線維芽細胞、骨髄細胞、血液細胞、肝細胞、幹細胞、上皮細胞、内皮細胞、樹状細胞、または腫瘍細胞から選択される、請求項４８～６２のいずれか一項に記載の方法。
［６４］
前記第１の細胞が、筋細胞、線維芽細胞、骨髄細胞、血液細胞、肝細胞、幹細胞、上皮細胞、内皮細胞、または樹状細胞から選択され、前記第２の細胞が、腫瘍細胞または機能

障害性細胞である、請求項４８～６２のいずれか一項に記載の方法。
［６５］
前記第１の細胞が、検出可能なマーカーを発現する、請求項４８～６４のいずれか一項に記載の方法。
［６６］
工程（ｂ）がインビトロで実施される、請求項４８～６５のいずれか一項に記載の方法。
［６７］
工程（ｂ）がインビボで実施される、請求項４８～６５のいずれか一項に記載の方法。
［６８］
前記第１の細胞がさらに、目的の遺伝子を含み、前記細胞の前記融合により、前記目的の遺伝子を前記第２の細胞に送達する、請求項４８～６７のいずれか一項に記載の方法。
［６９］
前記目的の遺伝子が、前記第２の細胞の病理学的表現型を矯正する、請求項６８に記載の方法。
［７０］
前記第２の細胞がさらに、目的の遺伝子を含み、前記細胞の前記融合により、前記目的の遺伝子を前記第１の細胞に送達する、請求項４８～６９のいずれか一項に記載の方法。
［７１］
前記目的の遺伝子が、前記第１の細胞の病理学的表現型を矯正する、請求項７０に記載の方法。
［７２］
前記目的の遺伝子が、ミトコンドリアＤＮＡの遺伝子である、請求項６８～７１のいずれか一項に記載の方法。
［７３］
前記病理学的表現型が、ミトコンドリアＤＮＡ欠乏；ミトコンドリア心筋症；赤色ぼろ線維を伴うミオクローヌス性てんかん（ＭＥＲＲＦ）；ミトコンドリア心筋症、脳筋症、乳酸性アシドーシス、脳卒中様症状（ＭＥＬＡＳ）；カーンズ－セイアー症候群（ＫＳＳ）；リー症候群（亜急性壊死性脳筋症）および母性遺伝のリー症候群（ＭＩＬＳ）；ミトコンドリア神経性胃腸管系脳筋症（ＭＮＧＩＥ）；赤色ぼろ線維を伴うミオクローヌス性てんかん（ＭＥＲＲＦ）；ニューロパチー、運動失調および網膜色素変性（ＮＡＲＰ）；またはピアソン症候群から選択される、請求項６９または７１に記載の方法。
［７４］
対象における癌を治療する方法であって、前記方法が、ＭＩＮＩＯＮポリペプチドをコードする核酸およびＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをコードする核酸を含む有効量の腫瘍溶解性ウイルスを前記対象に投与する工程を含む、方法。
［７５］
対象における癌を治療する方法であって、前記方法が、ＭＩＮＩＯＮポリペプチドをコードする核酸および同型相互作用を媒介する受容体をコードする核酸を含む有効量の腫瘍溶解性ウイルスを前記対象に投与する工程を含む、方法。
［７６］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む、請求項７４または７５に記載の方法。
［７７］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項７４または７５に記載の方法。
［７８］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１またはその変異体を含む、請求項７４ま

たは７５に記載の方法。
［７９］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号３またはその変異体を含む、請求項７４または７５に記載の方法。
［８０］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１またはその変異体からなる、請求項７４または７５に記載の方法。
［８１］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号３またはその変異体からなる、請求項７４または７５に記載の方法。
［８２］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む、請求項７４および７６～８１のいずれか一項に記載の方法。
［８３］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項７４および７６～８１のいずれか一項に記載の方法。
［８４］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体を含む、請求項７４および７６～８１のいずれか一項に記載の方法。
［８５］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体からなる、請求項７４および７６～８１のいずれか一項に記載の方法。
［８６］
同型相互作用を媒介する前記受容体が、カドヘリン、セレクチン、クローディン、オクルーディン、接合部接着分子、またはトリセルリンから選択される、請求項７５～８１のいずれか一項に記載の方法。
［８７］
同型相互作用を媒介する前記受容体が、Ｎ－カドヘリン、Ｐ－カドヘリン、Ｅ－カドヘリン、またはＭ－カドヘリンから選択されるカドヘリンである、請求項７５～８１のいずれか一項に記載の方法。
［８８］
前記腫瘍溶解性ウイルスが、次のウイルス：腫瘍溶解性アデノウイルス、腫瘍溶解性アデノ随伴ウイルス、腫瘍溶解性単純ヘルペスウイルス（ＨＳＶ）、腫瘍溶解性パルボウイルス、腫瘍溶解性レトロウイルス、腫瘍溶解性レンチウイルス、腫瘍溶解性ワクシニアウイルス、腫瘍溶解性シンドビスウイルス、腫瘍溶解性インフルエンザウイルス、腫瘍溶解性レオウイルス、腫瘍溶解性ニューカッスル病ウイルス（ＮＤＶ）、腫瘍溶解性麻疹ウイルス、腫瘍溶解性水疱性口内炎ウイルス（ＶＳＶ）、腫瘍溶解性ポリオウイルス、腫瘍溶解性ポックスウイルス、腫瘍溶解性セネカバレーウイルス、腫瘍溶解性コクサッキーウイルス、腫瘍溶解性エンテロウイルス、腫瘍溶解性粘液腫ウイルス、または腫瘍溶解性マラバウイルスのいずれかから選択される、請求項７４～８７のいずれか一項に記載の方法。
［８９］
前記腫瘍溶解性ウイルスが癌細胞を特異的に標的化する、請求項７４～８８のいずれか一項に記載の方法。
［９０］
前記腫瘍溶解性ウイルスが癌細胞において選択的に複製する、請求項７４～８９のいずれか一項に記載の方法。
［９１］
前記腫瘍溶解性ウイルスが、検出可能なマーカーを発現する、請求項７４～９０のいず

れか一項に記載の方法。
［９２］
前記腫瘍溶解性ウイルスが、腫瘍内、経皮的、経粘膜的、経口的、鼻腔内、皮下、動脈内、静脈内、筋肉内、髄腔内、もしくは腹腔内、または経肺投与を介して前記対象に投与される、請求項７４～９１のいずれか一項に記載の方法。
［９３］
前記癌が、頭頸部癌、皮膚癌、乳癌、前立腺癌、卵巣癌、子宮頸癌、肺癌、肝臓癌、腎臓癌、膵臓癌、結腸直腸癌、脳癌、神経芽細胞腫、神経膠腫、肉腫、リンパ腫、または白血病から選択される、請求項７４～９２のいずれか一項に記載の方法。
［９４］
前記癌が、血管肉腫、皮膚線維肉腫、類上皮肉腫、ユーイング肉腫、線維肉腫、消化管間質腫瘍（ＧＩＳＴ）、カポジ肉腫、平滑筋肉腫、脂肪肉腫、悪性線維性組織球腫、神経線維肉腫、横紋筋肉腫、未分化多形肉腫、または滑膜肉腫から選択される肉腫である、請求項７４～９２のいずれか一項に記載の方法。
［９５］
ヒトＭＩＮＩＯＮタンパク質に特異的に結合するモノクローナル抗体またはその抗原結合断片。
［９６］
前記ヒトＭＩＮＩＯＮタンパク質が、配列番号１または３の前記アミノ酸配列を含む、請求項９５に記載の抗体。
［９７］
前記モノクローナル抗体が、キメラ抗体、ヒト抗体、またはヒト化抗体である、請求項９５または９６に記載の抗体。
［９８］
対象における癌を治療する方法であって、前記方法が、ＭＩＮＩＯＮポリペプチドをコードする核酸およびＭｙｏｍａｋｅｒポリペプチドをコードする核酸を含む有効量の癌ワクチンを前記対象に投与する工程を含む、方法。
［９９］
対象における癌を治療する方法であって、前記方法が、ＭＩＮＩＯＮポリペプチドをコードする核酸および同型相互作用を媒介する受容体をコードする核酸を含む有効量の癌ワクチンを前記対象に投与する工程を含む、方法。
［１００］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む、請求項９８または９９に記載の方法。
［１０１］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１、３、５、７、９、１１、１３、もしくは１５、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項９８または９９に記載の方法。
［１０２］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１またはその変異体を含む、請求項９８または９９に記載の方法。
［１０３］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号３またはその変異体を含む、請求項９８または９９に記載の方法。
［１０４］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号１またはその変異体からなる、請求項９８または９９に記載の方法。
［１０５］
前記ＭＩＮＩＯＮポリペプチドが、配列番号３またはその変異体からなる、請求項９８

または９９に記載の方法。
［１０６］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列を含む、請求項９８および９９～１０５のいずれか一項に記載の方法。
［１０７］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６、１８、２０、２２、２４、２６、２８、もしくは３０、またはその変異体から選択されるアミノ酸配列からなる、請求項９８および９９～１０５のいずれか一項に記載の方法。
［１０８］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体を含む、請求項９８および９９～１０５のいずれか一項に記載の方法。
［１０９］
前記Ｍｙｏｍａｋｅｒポリペプチドが、配列番号１６またはその変異体からなる、請求項９８および９９～１０５のいずれか一項に記載の方法。
［１１０］
同型相互作用を媒介する前記受容体が、カドヘリン、セレクチン、クローディン、オクルーディン、接合部接着分子、またはトリセルリンから選択される、請求項９９～１０５のいずれか一項に記載の方法。
［１１１］
同型相互作用を媒介する前記受容体が、Ｎ－カドヘリン、Ｐ－カドヘリン、Ｅ－カドヘリン、またはＭ－カドヘリンから選択されるカドヘリンである、請求項９９～１０５のいずれか一項に記載の方法。
［１１２］
前記癌ワクチンが、樹状細胞および腫瘍細胞に由来する樹状－腫瘍融合細胞を含む、請求項９８～１１１のいずれか一項に記載の方法。
［１１３］
前記癌ワクチンが、ＣＤ４$^{+}$またはＣＤ８$^{+}$Ｔ細胞の活性化をシミュレートする、請求項９８～１１２のいずれか一項に記載の方法。
［１１４］
前記癌ワクチンが、１種以上の腫瘍関連抗原を提示する、請求項９８～１１３のいずれか一項に記載の方法。
［１１５］
前記癌ワクチンが、主要組織適合抗原複合体（ＭＨＣ）クラスＩまたはＩＩ経路を介して１種以上の前記腫瘍関連抗原を提示する、請求項１１４に記載の方法。
［１１６］
前記癌ワクチンが、検出可能なマーカーを発現する、請求項９８～１１５のいずれか一項に記載の方法。
［１１７］
前記樹状細胞が、自己の樹状細胞である、請求項１１２～１１６のいずれか一項に記載の方法。
［１１８］
前記樹状細胞が、同種の樹状細胞である、請求項１１２～１１６のいずれか一項に記載の方法。
［１１９］
前記腫瘍細胞が、自己の腫瘍細胞である、請求項１１２～１１８のいずれか一項に記載の方法。
［１２０］
前記腫瘍細胞が、同種の腫瘍細胞である、請求項１１２～１１８のいずれか一項に記載の方法。

［１２１］
前記樹状細胞が、活性化された樹状細胞である、請求項１１２～１２０のいずれか一項に記載の方法。
［１２２］
前記腫瘍細胞が、免疫原性の腫瘍細胞である、請求項１１２～１２１のいずれか一項に記載の方法。
［１２３］
前記腫瘍細胞が、癌幹細胞である、請求項１１２～１２２のいずれか一項に記載の方法。
［１２４］
前記癌ワクチンが、腫瘍内、経皮的、経粘膜的、経口的、鼻腔内、皮下、動脈内、静脈内、筋肉内、髄腔内、もしくは腹腔内、または経肺投与を介して前記対象に投与される、請求項９８～１２３のいずれか一項に記載の方法。
［１２５］
前記癌が、頭頸部癌、皮膚癌、乳癌、前立腺癌、卵巣癌、子宮頸癌、肺癌、肝臓癌、腎臓癌、膵臓癌、結腸直腸癌、脳癌、神経芽細胞腫、神経膠腫、肉腫、リンパ腫、または白血病から選択される、請求項９８～１２４のいずれか一項に記載の方法。
［１２６］
前記癌が、血管肉腫、皮膚線維肉腫、類上皮肉腫、ユーイング肉腫、線維肉腫、消化管間質腫瘍（ＧＩＳＴ）、カポジ肉腫、平滑筋肉腫、脂肪肉腫、悪性線維性組織球腫、神経線維肉腫、横紋筋肉腫、未分化多形肉腫、または滑膜肉腫から選択される肉腫である、請求項９８～１２４のいずれか一項に記載の方法。
［１２７］
筋ジストロフィーの治療を必要とする対象において筋ジストロフィーを治療する方法であって、請求項２７～３１のいずれか一項に記載の細胞を含む医薬組成物を投与する工程を含む、方法。
［１２８］
前記筋ジストロフィーが、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（ＤＭＤ）、ベッカー型筋ジストロフィー（ＢＭＤ）、先天性筋ジストロフィー（ＣＭＤ）、遠位型筋ジストロフィー、エメリ・ドレフュス型筋ジストロフィー（ＥＤＭＤ）、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー（ＦＭＤ）、肢帯型筋ジストロフィー（ＬＧＭＤ）、筋強直性筋ジストロフィー（ＭＭＤ）、眼咽頭型筋ジストロフィー（Ｏｃｕｌｏｐｈａｒｎｙｎｇｅａｌ　ｍｕｓｃｕｌａｒ　ｄｙｓｔｒｏｐｈｙ）（ＯＭＤ）、三好ミオパチー（ＭＭ）、肢帯型筋ジストロフィー２Ｂ型（ＬＧＭＤ２Ｂ）、および遠位型ミオパチー（ＤＭ）からなる群から選択される、請求項１２７に記載の方法。