

【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28年1月21日(2016.1.21)

【公表番号】特表2014-527407(P2014-527407A)

【公表日】平成26年10月16日(2014.10.16)

【年通号数】公開・登録公報2014-057

【出願番号】特願2014-523346(P2014-523346)

【国際特許分類】

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 15/00 (2006.01)

A 6 1 K 35/12 (2015.01)

A 6 1 K 35/28 (2015.01)

A 6 1 P 27/02 (2006.01)

A 6 1 P 27/12 (2006.01)

A 6 1 P 27/06 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 5/00 1 0 2

C 1 2 N 15/00 A

C 1 2 N 15/00 Z N A

A 6 1 K 35/12

A 6 1 K 35/28

A 6 1 P 27/02

A 6 1 P 27/12

A 6 1 P 27/06

【手続補正書】

【提出日】平成27年11月27日(2015.11.27)

【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】

間葉幹細胞(MSC)、または、造血幹細胞(HSC)および前駆細胞を含んでなる細胞集団を含んでなる、網膜変性疾患の処置用医薬組成物であって、前記細胞のWnt/-カテニンシグナル伝達経路が活性化されており、前記細胞が処置を必要とする被験者の目へ直接的に移植される、医薬組成物。

【請求項 2】

前記細胞がWnt/-カテニンシグナル伝達経路アクチベーター、もしくはWnt/-カテニンシグナル伝達経路レプレッサー阻害剤で処理された細胞であり、かつ/またはWnt/-カテニンシグナル伝達経路アクチベーターを過剰発現する細胞である、請求項 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 3】

前記Wnt/-カテニン経路アクチベーターがWntアイソフォーム、-カテニン、R-スポンジン、2-(4-アセチルフェニルアゾ)-2-(3,3-ジメチル-3,4-ジヒドロ-2H-イソキノリン-1-イリデン)-アセトアミド(IQ1)、(2S)-2-[2-(インダン-5-イルオキシ)-9-(1,1'-ビフェニル-4-イル

メチル)-9H-プリン-6-イルアミノ]-3-フェニル-プロパン-1-オール(QS11)、デオキシコール酸(DCA)、2-アミノ-4-[3,4-(メチレンジオキシ)ベンジルアミノ]-6-(3-メトキシフェニル)ピリミジン、表1に示される式(I)、(II)、(III)または(IV)の(ヘテロ)アリアルピリミジン、およびそれらの組合せからなる群から選択される、請求項2に記載の医薬組成物。

【請求項4】

前記Wnt/-カテニン経路レプレッサー阻害剤がGSK-3阻害剤、SFRP1阻害剤、およびそれらの組合せからなる群から選択される、請求項2に記載の医薬組成物。

【請求項5】

前記網膜変性疾患が色素性網膜炎、加齢性黄斑変性、シュタルガルト病、錐体桿体ジストロフィー、先天性停止性夜盲症、レーバー先天性黒内障、ベスト卵黄様黄斑ジストロフィー、前部虚血性視神経症、コロイデレミア、加齢性黄斑変性、中心窩黄斑ジストロフィー、ピエッティ結晶性角膜網膜ジストロフィー、アッシャー症候群、および原発病態に由来する網膜変性症状からなる群から選択される、請求項1～4のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項6】

前記網膜変性が白内障、糖尿病または緑内障に由来する、請求項5に記載の医薬組成物。

【請求項7】

間葉幹細胞(MSC)、または、造血幹細胞(HSC)および前駆細胞を含んでなる細胞集団を含んでなる、網膜変性疾患の処置用医薬組成物であって、リプログラミングがWnt/-カテニンシグナル伝達経路により媒介され、前記細胞を網膜細胞と融合することにより前記網膜細胞をリプログラミングする前に、前記細胞を処置を必要とする被験者の目へ直接的に移植する、処置医薬組成物。

【請求項8】

Wnt/-カテニンシグナル伝達経路アクチベーター、またはWnt/-カテニンシグナル伝達経路レプレッサー阻害剤と組み合わせて使用するための、請求項7に記載の医薬組成物。

【請求項9】

前記Wnt/-カテニン経路アクチベーターがWntアイソフォーム、/-カテニン、R-スポンジン、IQ1、QS11、DCA、2-アミノ-4-[3,4-(メチレンジオキシ)ベンジルアミノ]-6-(3-メトキシフェニル)ピリミジン、表1に示される式(I)、(II)、(III)または(IV)の(ヘテロ)アリアルピリミジン、およびそれらの組合せからなる群から選択される、請求項8に記載の医薬組成物。

【請求項10】

前記Wnt/-カテニン経路レプレッサー阻害剤がGSK-3阻害剤、SFRP1阻害剤、およびそれらの組合せからなる群から選択される、請求項8に記載の医薬組成物。

【請求項11】

前記網膜変性疾患が色素性網膜炎、加齢性黄斑変性、シュタルガルト病、錐体桿体ジストロフィー、先天性停止性夜盲症、レーバー先天性黒内障、ベスト卵黄様黄斑ジストロフィー、前部虚血性視神経症、コロイデレミア、加齢性黄斑変性、中心窩黄斑ジストロフィー、ピエッティ結晶性角膜網膜ジストロフィー、アッシャー症候群、および原発病態に由来する網膜変性症状からなる群から選択される、請求項7～10のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項12】

前記網膜変性が白内障、糖尿病または緑内障に由来する、請求項11に記載の医薬組成物。

【請求項13】

細胞組成物であって、前記細胞組成物の少なくとも50%の細胞が間葉幹細胞(MSC)、または造血幹細胞(HSC)および前駆細胞から選択され、かつ、前記細胞のWnt

/ - カテニンシグナル伝達経路が活性化されている、細胞組成物。

【請求項 14】

1) 間葉幹細胞 (MSC) または造血幹細胞 (HSC) および前駆細胞、ならびに薬学上許容される担体を少なくとも含んでなる医薬組成物であって、前記細胞の Wnt / - カテニンシグナル伝達経路が活性化されている医薬組成物、ならびに、

2) Wnt / - カテニンシグナル伝達経路アクチベーターまたは Wnt / - カテニンシグナル伝達経路レプレッサー阻害剤と組み合わせた、間葉幹細胞 (MSC) または造血幹細胞 (HSC) および前駆細胞、ならびに薬学上許容される担体を少なくとも含んでなる医薬組成物、

からなる群から選択される、医薬組成物。

【請求項 15】

処置を必要とする被験者の目への前記組成物の直接的な移植による、網膜変性疾患の処置用の、請求項 14 に記載の医薬組成物。

【請求項 16】

前記組成物を眼球内、硝子体内または網膜下注射により投与する、請求項 15 に記載の医薬組成物。

【請求項 17】

1) 間葉幹細胞 (MSC) または造血幹細胞 (HSC) および前駆細胞、ならびにキットの構成要素の使用に関する説明書を含んでなるキットであって、前記細胞の Wnt / - カテニンシグナル伝達経路が活性化されているキット、ならびに

2) Wnt / - カテニンシグナル伝達経路アクチベーターまたは Wnt / - カテニンシグナル伝達経路レプレッサー阻害剤と組み合わせた、間葉幹細胞 (MSC) または造血幹細胞 (HSC) および前駆細胞、ならびにキットの構成要素の使用に関する説明書とを含んでなるキット

からなる群から選択されるキット。

【請求項 18】

網膜変性疾患の処置用の、請求項 17 に記載のキット。

【請求項 19】

請求項 18 に記載の網膜変性疾患処置用のキットであって、前記網膜変性疾患が色素性網膜炎、加齢性黄斑変性、シュタルガルト病、錐体桿体ジストロフィー、先天性停止性夜盲症、レーバー先天性黒内障、ベスト卵黄様黄斑ジストロフィー、前部虚血性視神経症、コロイデレミア、加齢性黄斑変性、中心窩黄斑ジストロフィー、ピエッティ結晶性角膜網膜ジストロフィー、アッシャー症候群、および原発病態に由来する網膜変性症状からなる群から選択される、キット。

【請求項 20】

請求項 18 に記載の網膜変性疾患の処置用のキットであって、前記網膜変性が白内障、糖尿病または緑内障に由来する、キット。