

【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4年1月6日(2022.1.6)

【公表番号】特表2021-507683(P2021-507683A)

【公表日】令和3年2月25日(2021.2.25)

【年通号数】公開・登録公報2021-010

【出願番号】特願2020-528166(P2020-528166)

【国際特許分類】

| | | |
|---------|---------|-----------|
| C 1 2 N | 15/11 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/113 | (2010.01) |
| C 1 2 N | 5/10 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 5/0775 | (2010.01) |
| C 1 2 N | 15/87 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/86 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/866 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/861 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/867 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/864 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/54 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 5/09 | (2010.01) |
| C 1 2 N | 5/0781 | (2010.01) |
| C 1 2 N | 5/0783 | (2010.01) |
| C 1 2 N | 5/0784 | (2010.01) |
| C 1 2 N | 5/0786 | (2010.01) |
| C 1 2 N | 5/0787 | (2010.01) |
| A 6 1 K | 35/28 | (2015.01) |
| A 6 1 K | 31/7105 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 38/17 | (2006.01) |
| A 6 1 K | 35/76 | (2015.01) |
| A 6 1 P | 35/00 | (2006.01) |
| C 1 2 N | 15/12 | (2006.01) |

【F I】

| | | |
|---------|--------|---------|
| C 1 2 N | 15/11 | Z N A Z |
| C 1 2 N | 15/113 | Z |
| C 1 2 N | 5/10 | |
| C 1 2 N | 5/0775 | |
| C 1 2 N | 15/113 | 1 3 0 Z |
| C 1 2 N | 15/87 | Z |
| C 1 2 N | 15/86 | Z |
| C 1 2 N | 15/866 | Z |
| C 1 2 N | 15/861 | Z |
| C 1 2 N | 15/867 | Z |
| C 1 2 N | 15/864 | 1 0 0 Z |
| C 1 2 N | 15/54 | |
| C 1 2 N | 5/09 | |
| C 1 2 N | 5/0781 | |
| C 1 2 N | 5/0783 | |
| C 1 2 N | 5/0784 | |
| C 1 2 N | 5/0786 | |

C 1 2 N 5/0787
A 6 1 K 35/28
A 6 1 K 31/7105
A 6 1 K 38/17
A 6 1 K 35/76
A 6 1 P 35/00
C 1 2 N 15/12

【手続補正書】

【提出日】令和3年11月19日(2021.11.19)

【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】

オリゴヌクレオチドを標的細胞に送達するための医薬組成物であって、1、2、3、4及び5、v、1及び3インテグリンからなるインテグリンの群から選択される1つ又は複数のマーカーを発現する間葉系前駆細胞又は幹細胞を含み、前記細胞が、オリゴヌクレオチド又はオリゴヌクレオチドを発現するベクターを導入するように改変された、医薬組成物。

【請求項2】

1、2、3、4及び5、v、1及び3インテグリンからなるインテグリンの群から選択される1つ又は複数のマーカーを発現する間葉系前駆細胞又は幹細胞を含む医薬組成物であって、前記細胞が、オリゴヌクレオチドを導入する、又はオリゴヌクレオチドを発現するベクターを含むように改変された、医薬組成物。

【請求項3】

オリゴヌクレオチドが阻害的オリゴヌクレオチドである、請求項1又は2に記載の医薬組成物。

【請求項4】

癌の処置のための医薬組成物であって、間葉系前駆細胞又は幹細胞を含み、前記細胞が、KIF11 siRNA及びPLK1 siRNAからなる群から選択される阻害的オリゴヌクレオチドを導入するように改変された、又は前記細胞が阻害的オリゴヌクレオチドを発現するベクターを含む、医薬組成物。

【請求項5】

オリゴヌクレオチドが、約12～24ヌクレオチド長である、請求項1から4のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項6】

オリゴヌクレオチドが、RNAである、請求項1から3又は5のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項7】

オリゴヌクレオチドが、アンチセンス分子である、請求項1から3、5又は6のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項8】

オリゴヌクレオチドが、shRNA、siRNA又はmiRNAである、請求項1から3、又は5から7のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項9】

阻害的オリゴヌクレオチドが、5'末端から800bpと3,600bpの間で、配列番号1に相当する配列を含むKIF11 mRNA転写物に結合するKIF11 siRNAである、請求項4に記載の医薬組成

物。

【請求項 1 0】

オリゴヌクレオチドが、配列番号2、3、4、5、6、7、8又は9のいずれか1つに示される核酸配列を含む、請求項5から9のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 1 1】

オリゴヌクレオチドが、18～22ヌクレオチド長である、請求項1から10のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 1 2】

miRNAが、miR-155、miR-155-inh、miR-181-B1、miR-15a、miR-16-1、miR-21、miR-34a、miR-221、miR-29a、let-7b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 1 3】

オリゴヌクレオチドが、阻害的オリゴヌクレオチドが送達された標的細胞を殺滅するが、阻害的オリゴヌクレオチドがそこから送達される間葉系前駆細胞又は幹細胞の生存能力には実質的に影響しない阻害的オリゴヌクレオチドである、請求項1から12のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 1 4】

間葉系前駆細胞又は幹細胞が、STRO-1および／またはCD46も発現する、請求項1から13のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 1 5】

間葉系前駆細胞又は幹細胞が、実質的にSTRO-1^{bri}である、請求項14に記載の医薬組成物。

【請求項 1 6】

間葉系前駆細胞又は幹細胞が、多能性細胞に由来する、請求項1から15のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 1 7】

多能性細胞が、人工多能性幹細胞(iPSC)である、請求項16に記載の医薬組成物。

【請求項 1 8】

間葉系前駆細胞又は幹細胞が標的細胞と接触した際に、間葉系前駆細胞又は幹細胞が標的細胞とギャップ結合を形成し、それによって、オリゴヌクレオチドが、ギャップ結合を横断することによって標的細胞に送達される、請求項1から17のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 1 9】

標的細胞が、がん細胞又は白血球である、請求項18に記載の組成物。

【請求項 2 0】

がん細胞が、肺がん、膵がん、結腸直腸がん、肝臓がん、子宮頸がん、前立腺がん、骨肉腫又は黒色腫細胞である、請求項19に記載の医薬組成物。

【請求項 2 1】

標的細胞が、合胞体細胞である、請求項18から20のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 2 2】

間葉系前駆細胞又は幹細胞が、ウイルスベクターを使用して、オリゴヌクレオチドを導入するように改変されている、請求項1から21のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 2 3】

改変された間葉系前駆細胞又は幹細胞が、間葉系前駆細胞又は幹細胞上の細胞表面グリカンの改変を生じるように処理されている、請求項1から22のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 2 4】

間葉系前駆細胞又は幹細胞が、グリコシルトランスフェラーゼをコードする核酸を導入するように改変されており、細胞中でのグリコシルトランスフェラーゼの発現が、*in vivo*の炎症部位での細胞の保持の増強をもたらす、請求項23に記載の医薬組成物。

【請求項 2 5】

グリコシルトランスフェラーゼが、フコシルトランスフェラーゼ、ガラクトシルトランスフェラーゼ、又はシアリルトランスフェラーゼである、請求項24に記載の医薬組成物。