

【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 3 年 6 月 10 日 (2021.6.10)

【公表番号】特表 2020-517601 (P2020-517601A)

【公表日】令和 2 年 6 月 18 日 (2020.6.18)

【年通号数】公開・登録公報 2020-024

【出願番号】特願 2019-556176 (P2019-556176)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/34 (2015.01)

A 6 1 P 21/04 (2006.01)

A 6 1 P 9/04 (2006.01)

A 6 1 P 9/00 (2006.01)

A 6 1 P 21/00 (2006.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 K 35/761 (2015.01)

A 6 1 K 31/7105 (2006.01)

A 6 1 K 31/7088 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

C 1 2 N 5/077 (2010.01)

C 1 2 N 15/11 (2006.01)

C 1 2 N 15/63 (2006.01)

C 1 2 N 15/86 (2006.01)

C 1 2 N 15/861 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 35/34 Z N A

A 6 1 P 21/04

A 6 1 P 9/04

A 6 1 P 9/00

A 6 1 P 21/00

A 6 1 K 35/76

A 6 1 K 35/761

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 K 48/00

C 1 2 N 5/077

C 1 2 N 15/11 Z

C 1 2 N 15/63 Z

C 1 2 N 15/86 Z

C 1 2 N 15/861 Z

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 4 月 15 日 (2021.4.15)

【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】

骨格筋ジストロフィーの治療を必要とする対象において骨格筋ジストロフィーを治療するのに使用するための組成物であって、治療有効量の心筋球由来細胞（ＣＤＣ）を含み、前記治療有効量のＣＤＣが、前記対象の異栄養性骨格筋を治療するのに十分である、組成物。

【請求項 2】

前記骨格筋ジストロフィーが、骨格筋のジストロフィン異常症を伴うデュシェンヌ型筋ジストロフィー（ＤＭＤ）である、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

前記骨格筋ジストロフィーが、骨格筋のジストロフィン異常症を伴うベッカー型筋ジストロフィーである、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 4】

前記異栄養性骨格筋が、横隔膜、腕又は脚の骨格筋である、請求項 1 ～ 3 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 5】

前記治療有効量のＣＤＣが、異栄養性骨格筋における筋肉注射を介して前記対象に投与されるように構成されている、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 6】

前記治療有効量のＣＤＣが、前記対象に全身投与されるように構成されている、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 7】

前記治療有効量のＣＤＣが、静脈注射を介して投与されるように構成されている、請求項 6 に記載の組成物。

【請求項 8】

前記治療有効量のＣＤＣが、右心室または左心室への注射を介して投与されるように構成されている、請求項 6 に記載の組成物。

【請求項 9】

前記治療有効量のＣＤＣが、腹腔内注射を介して投与されるように構成されている、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 10】

心臓ではない部位において前記対象に投与されるように構成されている、請求項 1 ～ 4 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 11】

前記治療有効量のＣＤＣが、前記組成物の 2 回以上の投与を介して送達される、請求項 1 ～ 10 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 12】

ＣＤＣの前記 2 回以上の投与が、約 3 カ月の間隔で行われる、請求項 11 に記載の組成物。

【請求項 13】

前記治療有効量のＣＤＣが、単回の投与を介して送達される、請求項 1 ～ 10 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 14】

前記治療有効量のＣＤＣが、約 75×10^6 個のＣＤＣであるか、又は少なくとも約 5×10^6 個のＣＤＣである、請求項 1 ～ 13 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 15】

前記治療有効量のＣＤＣが、約 150×10^6 個のＣＤＣであるか、又は少なくとも約 150×10^6 個のＣＤＣである、請求項 1 ～ 13 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 16】

前記治療有効量の CDC が、約 1×10^7 個 ~ 約 1×10^9 個の CDC を含む、請求項 1 ~ 13 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 17】

前記 CDC が同種ヒト CDC であり、前記対象がヒト対象である、請求項 1 ~ 16 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 18】

前記対象が小児対象である、請求項 1 ~ 16 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 19】

前記対象が 3 歳 ~ 11 歳である、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 20】

前記対象が 12 歳 ~ 18 歳である、請求項 17 に記載の組成物。

【請求項 21】

ステロイドと共に投与されるように構成されている、請求項 1 ~ 20 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 22】

前記対象がヒトである、請求項 1 ~ 21 のいずれか 1 項に記載の組成物。