

【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 8 月 12 日 (2021.8.12)

【公表番号】特表 2020-514321 (P2020-514321A)

【公表日】令和 2 年 5 月 21 日 (2020.5.21)

【年通号数】公開・登録公報 2020-020

【出願番号】特願 2019-541287 (P2019-541287)

【国際特許分類】

A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	37/04	(2006.01)
A 6 1 P	35/00	(2006.01)
A 6 1 P	37/02	(2006.01)
A 6 1 K	38/02	(2006.01)
A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	45/00	(2006.01)
A 6 1 K	9/51	(2006.01)
A 6 1 K	9/127	(2006.01)
A 6 1 K	47/69	(2017.01)
A 6 1 K	47/24	(2006.01)
A 6 1 K	47/28	(2006.01)
A 6 1 K	47/22	(2006.01)
A 6 1 K	47/18	(2006.01)
C 1 2 N	15/12	(2006.01)
C 0 7 K	14/705	(2006.01)
C 0 7 K	14/725	(2006.01)
C 0 7 K	16/28	(2006.01)
C 1 2 N	15/13	(2006.01)
A 6 1 K	39/00	(2006.01)
A 6 1 K	39/39	(2006.01)
C 1 2 N	15/62	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	48/00	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
A 6 1 P	37/04	Z N A
A 6 1 P	35/00	
A 6 1 P	37/02	
A 6 1 K	38/02	
A 6 1 K	39/395	N
A 6 1 K	39/395	T
A 6 1 K	45/00	
A 6 1 K	9/51	
A 6 1 K	9/127	
A 6 1 K	47/69	
A 6 1 K	47/24	
A 6 1 K	47/28	
A 6 1 K	47/22	
A 6 1 K	47/18	
C 1 2 N	15/12	

C 0 7 K 14/705
 C 0 7 K 14/725
 C 0 7 K 16/28
 C 1 2 N 15/13
 A 6 1 K 39/00 H
 A 6 1 K 39/39
 C 1 2 N 15/62

【手続補正書】

【提出日】令和3年2月1日(2021.2.1)

【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】

2 つ以上の活性化がん遺伝子変異ペプチドのコンカテマーをコードするオープンリーディングフレームを含む m R N A を含む、免疫調節治療組成物。

【請求項 2】

前記活性化がん遺伝子変異ペプチドの少なくとも 1 つが、K R A S 変異ペプチドであり、所望により、K R A S 変異ペプチドが、G 1 2 K R A S 変異および / または G 1 3 K R A S 変異を含み、所望により、G 1 2 K R A S 変異が、(i) G 1 2 D、G 1 2 V、G 1 2 S、G 1 2 C、G 1 2 A、及び G 1 2 R K R A S 変異；または (i i) G 1 2 D、G 1 2 V、及び G 1 2 C K R A S 変異から選択され、所望により、G 1 3 K R A S 変異が、G 1 3 D K R A S 変異である、請求項 1 に記載の免疫調節治療組成物。

【請求項 3】

前記コンカテマーが、3、4、5、6、7、8、9、または 10 個の活性化がん遺伝子変異ペプチドを含み、所望により、前記コンカテマーが 4 個の活性化がん遺伝子変異ペプチドを含み、所望により、前記がん遺伝子変異ペプチドのそれぞれが、配列番号 1 2 1、3 6、3 9、1 2 2、3 7、4 0、1 2 3、3 8、4 1、1 2 4、1 2 5、及び 7 2 からなる群より独立して選択されるアミノ酸配列を含み、所望により、前記コンカテマーが、配列番号 3 9、4 0、4 1、及び 7 2 からなる群より独立して選択されるアミノ酸配列を有する K R A S 活性化変異ペプチドを含み、所望により、前記コンカテマーが、N 末端から C 末端に、配列番号 3 9、4 0、4 1、及び 7 2 のアミノ酸配列をそれぞれ有する K R A S 活性化がん遺伝子変異ペプチドを含む、請求項 1 または 2 に記載の免疫調節治療組成物。

【請求項 4】

前記コンカテマーが、G 1 2 D、G 1 2 V、G 1 2 C、G 1 2 S、G 1 2 A、G 1 2 R、及び G 1 3 D の K R A S 変異からなる群より独立して選択される少なくとも 1 つの変異を含む活性化がん遺伝子変異ペプチドを含み、所望により、前記変異が、G 1 2 D、G 1 2 V、G 1 2 C、及び G 1 3 D からなる群より独立して選択され、所望により、前記変異が、G 1 2 D、G 1 2 V、G 1 2 C、及び G 1 3 D である、請求項 1 に記載の免疫調節治療組成物。

【請求項 5】

前記活性化がん遺伝子変異ペプチドが、別個に 10 ~ 30、15 ~ 25、または 20 ~ 25 アミノ酸長を含むか、または、前記活性化がん遺伝子変異ペプチドが、別個に 20、21、22、23、24、または 25 アミノ酸長を含む、および / または前記活性化がん遺伝子変異ペプチドの少なくとも 2 つがリンカーなしで互いに直接結合している、および / または

前記 mRNA が 200、300、400、500、600、700、800、または 900
ヌクレオチドを含む、および / または

前記コンカテマーが 100-mer コンカテマーである、

請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載の免疫調節治療組成物。

【請求項 6】

前記コンカテマーが、配列番号 42 - 47、73 及び 137 からなる群より選択される
アミノ酸配列を含む、または前記コンカテマーをコードする前記 mRNA が、配列番号 1
29 - 131、133、138 及び 169 からなる群より選択されるヌクレオチド配列を
含む、請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項に記載の免疫調節治療組成物。

【請求項 7】

前記コンカテマーが、配列番号 137 のアミノ酸配列を含む、請求項 1 に記載の免疫調
節治療組成物。

【請求項 8】

オープンリーディングフレーム (ORF) が、配列番号 169 のヌクレオチド配列を含
む、請求項 1 に記載の免疫調節治療組成物。

【請求項 9】

mRNA が、配列番号 167 のヌクレオチド配列を含む、請求項 1 に記載の免疫調節治
療組成物。

【請求項 10】

mRNA が少なくとも 1 つの化学修飾を含み、所望により、前記化学修飾が、シュード
ウリジン、N1 - メチルシュードウリジン、2 - チオウリジン、4' - チオウリジン、5
- メチルシトシン、2 - チオ - 1 - メチル - 1 - デアザ - シュードウリジン、2 - チオ -
1 - メチル - シュードウリジン、2 - チオ - 5 - アザ - ウリジン、2 - チオ - ジヒドロシ
ュードウリジン、2 - チオ - ジヒドロウリジン、2 - チオ - シュードウリジン、4 - メト
キシ - 2 - チオ - シュードウリジン、4 - メトキシ - シュードウリジン、4 - チオ - 1 -
メチル - シュードウリジン、4 - チオ - シュードウリジン、5 - アザ - ウリジン、ジヒド
ロシュードウリジン、5 - メチルウリジン、5 - メチルウリジン、5 - メトキシウリジン
、及び 2' - O - メチルウリジンからなる群より選択される、または前記化学修飾が、シ
ュードウリジンまたはシュードウリジン類似体からなる群より選択される、または前記化
学修飾が N1 - メチルシュードウリジンである、請求項 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載の免
疫調節治療組成物。

【請求項 11】

mRNA が N1 - メチルシュードウリジンである少なくとも 1 つの化学修飾を含み、所
望により mRNA における全てのウリジンヌクレオチドが N1 - メチルシュードウリジン
である、請求項 9 に記載の免疫調節治療組成物。

【請求項 12】

請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の免疫調節治療組成物を含む脂質ナノ粒子であっ
て、所望により前記脂質ナノ粒子が、約 20 ~ 60 % のイオン性アミノ脂質：5 ~ 25 %
のリン脂質：25 ~ 55 % のステロール；0.5 ~ 15 % の PEG 修飾脂質というモル比
を含み、所望により前記イオン性アミノ脂質が式 (I) の化合物であり、所望により前記
式 (I) の化合物が化合物 25 である、脂質ナノ粒子。

【請求項 13】

前記脂質ナノ粒子が、約 50 % の化合物 25：約 10 % の DSPC：約 38.5 % のコ
レステロール；及び約 1.5 % の PEG - DMG というモル比を含む、請求項 12 に記載
の脂質ナノ粒子。

【請求項 14】

請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の免疫調節治療組成物または請求項 12 または 1
3 のいずれか 1 項に記載の脂質ナノ粒子、及び薬学的に許容される担体とを含む薬学的組
成物であって、所望により、前記薬学的に許容される担体は、緩衝液を含む、薬学的組成
物。

【請求項 15】

筋肉内送達用に処方されている、請求項 14 に記載の薬学的組成物。

【請求項 16】

個体におけるがんを処置または進行を遅延するのに使用するための、請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の免疫調節治療組成物、請求項 12 または 13 のいずれか 1 項に記載の脂質ナノ粒子、及び任意の薬学的に許容される担体、または請求項 14 または 15 のいずれか 1 項に記載の薬学的組成物であって、ここで前記処置は前記脂質ナノ粒子または組成物を第 2 の組成物と組み合わせて投与することを包含し、ここで前記第 2 の組成物がチェックポイント阻害剤ポリペプチド及び任意の薬学的に許容される担体を含む、免疫調節治療組成物、脂質ナノ粒子、任意の薬学的に許容される担体、または薬学的組成物。

【請求項 17】

請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の免疫調節処置組成物、請求項 12 または 13 のいずれか 1 項に記載の脂質ナノ粒子、及び任意の薬学的に許容される担体、または請求項 14 または 15 のいずれか 1 項に記載の薬学的組成物を含む容器、ならびに個体におけるがんを処置または進行を遅延させるための免疫調節処置組成物、脂質ナノ粒子または薬学的組成物の投与のための説明書を含む添付文書、を備えるキット。

【請求項 18】

前記添付文書が、個体におけるがんの処置または進行の遅延のための、チェックポイント阻害剤ポリペプチド及び任意の薬学的に許容される担体を含む組成物と組み合わせた、脂質ナノ粒子または薬学的組成物の投与の説明書をさらに備える、請求項 17 に記載のキット。

【請求項 19】

その必要な対象において、腫瘍のサイズを縮小もしくは減少するか、腫瘍増殖を阻害するか、または抗腫瘍応答を誘導するための、請求項 1 ~ 11 のいずれか 1 項に記載の免疫調節処置組成物、請求項 12 または 13 のいずれか 1 項に記載の脂質ナノ粒子を含む組成物、または請求項 14 または 15 のいずれか 1 項に記載の組成物。

【請求項 20】

前記免疫調節処置組成物または組成物が、がん治療剤と組み合わせて投与される、または前記免疫調節処置組成物または組成物が、阻害性チェックポイントポリペプチドまたはそれをコードするポリヌクレオチドと組み合わせて投与される、所望により、前記阻害性チェックポイントポリペプチドが、PD - 1、PD - L1、TIM - 3、VISTA、A2AR、B7 - H3、B7 - H4、BTLA、CTLA - 4、IDO、KIR及びLAG3 からなる群より選択される分子に特異的に結合する抗体またはその抗原結合断片である、請求項 19 に記載の免疫調節治療組成物または組成物。

【請求項 21】

前記がんが、膵臓癌、腹膜癌、大腸癌、小腸癌、胆管癌、肺癌、子宮内膜癌、卵巣癌、生殖管癌、胃腸管癌、子宮頸癌、胃癌、尿路癌、結腸癌、直腸癌、ならびに造血及びリンパ組織のがんから選択される、請求項 19 または 20 のいずれか 1 項に記載の免疫調節治療組成物または組成物。