

【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6年1月12日(2024.1.12)

【国際公開番号】WO2021/138600

【公表番号】特表2023-508616(P2023-508616A)

【公表日】令和5年3月2日(2023.3.2)

【年通号数】公開公報(特許)2023-040

【出願番号】特願2022-565737(P2022-565737)

【国際特許分類】

10

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 31/7105(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 K 47/26(2006.01)

A 6 1 K 9/127(2006.01)

A 6 1 K 9/14(2006.01)

A 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 K 47/32(2006.01)

A 6 1 K 47/34(2017.01)

20

A 6 1 K 47/28(2006.01)

A 6 1 K 47/24(2006.01)

A 6 1 K 39/395(2006.01)

C 1 2 N 15/13(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/54(2006.01)

C 1 2 N 5/10(2006.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

C 0 7 K 16/28(2006.01)

C 0 7 K 19/00(2006.01)

30

C 1 2 N 5/0786(2010.01)

【F I】

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 48/00

A 6 1 K 31/7105

A 6 1 P 35/00

A 6 1 K 47/26

A 6 1 K 9/127

A 6 1 K 9/14

A 6 1 K 45/00

40

A 6 1 K 47/32

A 6 1 K 47/34

A 6 1 K 47/28

A 6 1 K 47/24

A 6 1 K 39/395 N

C 1 2 N 15/13 Z N A

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/54

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 15/63 Z

50

C 0 7 K 1 6 / 2 8
 C 0 7 K 1 9 / 0 0
 C 1 2 N 5 / 0 7 8 6

【手続補正書】

【提出日】令和5年12月28日(2023.12.28)

【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

10

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

専門食細胞に結合するターゲティングリガンド；並びに

第1の結合ドメイン及び第2の結合ドメインを少なくとも有するタンパク質分子をコードする核酸

を含むナノ粒子であって、

第1の結合ドメインが、免疫細胞により発現される細胞表面タンパク質に特異的であり

、
 第2の結合ドメインが、がん細胞により発現される細胞表面タンパク質に特異的である
 、ナノ粒子。

20

【請求項2】

ターゲティングリガンドが、単球、マクロファージ、又は両方により発現される細胞表面タンパク質に結合する、請求項1に記載のナノ粒子。

【請求項3】

核酸がリボ核酸(RNA)を含む、請求項1に記載のナノ粒子。

【請求項4】

第1の結合ドメインが、リンパ球の細胞表面タンパク質に特異的である、請求項1に記載のナノ粒子。

【請求項5】

第1の結合ドメインが、CD8+T細胞、CD4+T細胞、ガンマデルタT細胞、及びNK T細胞からなる群から選択されるT細胞の細胞表面タンパク質に特異的である、請求項1に記載のナノ粒子。

30

【請求項6】

タンパク質分子が二重特異性T細胞エンゲージャーである、請求項1に記載のナノ粒子。

【請求項7】

第2の結合ドメインが、がん細胞により発現される抗原に特異的である、請求項1に記載のナノ粒子。

【請求項8】

1つ以上のインターフェロン制御因子(IRF)をコードする第2の核酸をさらに含む、請求項1に記載のナノ粒子。

40

【請求項9】

腫瘍細胞増殖インヒビター又は腫瘍細胞増殖インヒビターをコードする核酸をさらに含む、請求項1に記載のナノ粒子。

【請求項10】

ナノ粒子が、リポソーム、リポソームナノ粒子、脂質ナノ粒子、又は固形脂質ナノ粒子である、請求項1に記載のナノ粒子。

【請求項11】

少なくとも、請求項1～10のいずれか一項に記載のナノ粒子を含む組成物。

50

【請求項 1 2】

ヒト対象においてがんを治療するための組成物であって、
前記組成物は、請求項 1 ~ 1 0 のいずれか一項に記載のナノ粒子を少なくとも 1 つ含む第 1 の複数のナノ粒子を含み、

第 1 の複数のナノ粒子が、ヒト対象において免疫応答を刺激又は増強し、それによってがんを治療する、組成物。

【請求項 1 3】

ヒト対象においてがんを治療する方法において使用するための医薬組成物であって、前記組成物は、請求項 1 ~ 1 0 のいずれか一項に記載のナノ粒子を含み、前記方法は、前記ナノ粒子を含む組成物をヒト対象に投与することを含む、医薬組成物。

10

【請求項 1 4】

前記方法が、第 2 の複数のナノ粒子を含む組成物をヒト対象に投与することをさらに含み

前記第 2 の複数のナノ粒子のそれぞれが、

単球、マクロファージ、又は両方に結合するターゲティングリガンド、並びに

(a) 1 つ以上のインターフェロン制御因子 (I R F) をコードする m R N A、及び (b) I K K をコードする m R N A を含む、請求項 1 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 5】

第 1 又は第 2 の複数のナノ粒子の少なくともサブセットが、腫瘍細胞増殖インヒビターをコードする m R N A をさらに含む、請求項 1 4 に記載の医薬組成物。

20

【請求項 1 6】

前記方法が、第 3 の複数のナノ粒子を含む組成物をヒト対象に投与することをさらに含み

前記第 3 の複数のナノ粒子のそれぞれが、

単球、マクロファージ、又は両方に結合するターゲティングリガンド、及び

腫瘍細胞増殖インヒビターをコードする m R N A

を含む、請求項 1 4 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 7】

免疫細胞により発現される細胞表面タンパク質に特異的な第 1 の結合ドメイン及びがん細胞により発現される細胞表面タンパク質に特異的な第 2 の結合ドメインを少なくとも有するタンパク質分子をコードする核酸が積載されたナノ粒子を含み、
ナノ粒子が食細胞の表面に付着しているか、又は食細胞により内在化されている、改変された専門食細胞。

30

【請求項 1 8】

前記改変された専門食細胞は、

(a) 1 つ以上のインターフェロン制御因子 (I R F) をコードする核酸、(b) I K K をコードする核酸、又は (c) 腫瘍細胞増殖インヒビターをコードする核酸のうちの 1 つ以上が積載された第 2 のナノ粒子のうちの少なくとも 1 つ、及び

腫瘍細胞増殖インヒビターをコードする核酸が積載された第 3 のナノ粒子、
をさらに含み、

40

第 2 及び第 3 のナノ粒子のそれぞれが、食細胞の表面に付着しているか、又は食細胞により内在化されている、請求項 1 7 に記載の改変された専門食細胞。

【請求項 1 9】

正電荷ポリマーコア、及びポリマーコアの周囲の中性又は負電荷被覆を含み、正電荷ポリマーコアが、免疫細胞活性化エピトープに結合する少なくとも 1 つの結合ドメイン及び / 又はがん抗原に結合する少なくとも 1 つの結合ドメインをコードするヌクレオチドをカプセル化している、ナノ粒子。

【請求項 2 0】

ナノ粒子を含むシステムであって、

前記ナノ粒子の少なくともサブセットが、1 つ以上のインターフェロン制御因子 (I R

50

F) をコードするヌクレオチドを含み、

前記ナノ粒子の少なくともサブセットが、少なくとも2つの結合ドメインを有するタンパク質分子をコードするヌクレオチドを含み、

1つの結合ドメインが、腫瘍部位でがん細胞により発現される抗原に結合し、

1つの結合ドメインが、免疫細胞活性化エピトープに結合する、

前記システム。

【請求項21】

請求項20に記載のシステムのヌクレオチドを発現するように遺伝的に改変された単球又はマクロファージ。

【請求項22】

請求項20に記載のシステムであって、前記システムは、対象内の腫瘍部位でマクロファージ活性化状態を調節し、免疫細胞を腫瘍部位に動員し、動員された免疫細胞を活性化する方法において使用するためのものであり、前記方法は、請求項20に記載のシステムを対象に投与し、それによって対象内の腫瘍部位でマクロファージ活性化状態を調節し、免疫細胞を腫瘍部位に動員し、動員された免疫細胞を活性化することを含む、前記システム

10

20

30

40

50