

【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 4 月 22 日 (2021.4.22)

【公表番号】特表 2020-510704 (P2020-510704A)

【公表日】令和 2 年 4 月 9 日 (2020.4.9)

【年通号数】公開・登録公報 2020-014

【出願番号】特願 2019-571809 (P2019-571809)

【国際特許分類】

A 6 1 K	45/00	(2006.01)
C 0 7 K	19/00	(2006.01)
C 0 7 K	16/42	(2006.01)
C 1 2 N	5/078	(2010.01)
C 1 2 N	5/10	(2006.01)
A 6 1 P	35/00	(2006.01)
A 6 1 P	35/02	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	47/68	(2017.01)
A 6 1 K	35/17	(2015.01)
A 6 1 K	39/44	(2006.01)
A 6 1 K	39/00	(2006.01)
A 6 1 P	37/04	(2006.01)
C 1 2 N	5/0783	(2010.01)
C 1 2 N	15/867	(2006.01)
C 1 2 N	15/62	(2006.01)
C 1 2 N	15/13	(2006.01)

【F I】

A 6 1 K	45/00	
C 0 7 K	19/00	
C 0 7 K	16/42	
C 1 2 N	5/078	
C 1 2 N	5/10	
A 6 1 P	35/00	
A 6 1 P	35/02	
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 K	39/395	E
A 6 1 K	39/395	T
A 6 1 K	47/68	
A 6 1 K	39/395	C
A 6 1 K	39/395	L
A 6 1 K	35/17	A
A 6 1 K	39/44	
A 6 1 K	39/00	H
A 6 1 K	35/17	Z
A 6 1 P	37/04	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
C 1 2 N	5/0783	Z N A
C 1 2 N	15/867	Z
C 1 2 N	15/62	Z

C 1 2 N 15/13

【手続補正書】

【提出日】令和3年3月12日(2021.3.12)

【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】

対象における血液癌を治療又は予防するための、5T4標的剤を含む組成物であって、前記血液癌が、前駆B細胞急性リンパ芽球性白血病(B-ALL)でない、組成物。

【請求項2】

前記5T4標的剤が、抗体又はその生物学的に活性な断片である、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記抗体が、モノクローナル抗体又はその生物学的に活性な断片である、請求項2に記載の組成物。

【請求項4】

前記モノクローナル抗体が、H8 5T4特異的抗体又は2E4 5T4特異的抗体に基づく、請求項3に記載の組成物。

【請求項5】

前記抗体が抗体薬物コンジュゲートの形態である、請求項2～4のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項6】

前記5T4標的剤が免疫細胞である、請求項1に記載の組成物。

【請求項7】

前記免疫細胞が、T細胞、NK細胞又はNKT細胞である、請求項6に記載の組成物。

【請求項8】

前記免疫細胞がT細胞である、請求項7に記載の組成物。

【請求項9】

前記細胞が、5T4特異的キメラ抗原受容体(CAR)又はT細胞受容体(TCR)を含む、請求項6～8のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項10】

前記5T4標的剤が5T4ワクチンである、請求項1に記載の組成物。

【請求項11】

静脈内投与により投与される、請求項1～10のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項12】

前記対象が哺乳類の対象である、請求項1～11のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項13】

前記対象がヒト対象である、請求項1～12のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項14】

前記血液癌が、白血病、リンパ腫又は骨髓腫から選択される、請求項1～13のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項15】

前記血液癌が、慢性リンパ球性白血病、骨髓腫、急性骨髓性白血病、B細胞急性リンパ芽球性白血病、慢性骨髓性白血病、及びT細胞急性リンパ芽球性白血病から選択される、請求項14に記載の組成物。

【請求項16】

更なる癌療法と組み合わせて同時に又は連続的に投与される、請求項1～15のいずれか1項に記載の組成物。

【請求項17】

対象における血液癌の治療又は予防のための医薬の製造における、5T4標的剤の使用。

【請求項18】

請求項1～16のいずれか1項に記載の組成物であって、前記対象が、5T4発現について事前スクリーニングされる、又は事前スクリーニングされている、組成物。

【請求項19】

前記血液癌が、白血病、リンパ腫又は骨髄腫から選択される、請求項17に記載の5T4標的剤の使用。

【請求項20】

前記血液癌が、慢性リンパ球性白血病、骨髄腫、急性骨髄性白血病、B細胞急性リンパ芽球性白血病、慢性骨髄性白血病、及びT細胞急性リンパ芽球性白血病から選択される、請求項17に記載の5T4標的剤の使用。

【請求項21】

前記対象が、5T4発現について事前スクリーニングされる、又は事前スクリーニングされている、請求項17に記載の5T4標的剤の使用。

【請求項22】

モノクローナル抗5T4抗体由来のVH及びVLを含む細胞外リガンド結合ドメイン、ヒンジ、膜貫通ドメイン、並びにシグナル伝達ドメイン及び共刺激ドメインを含む細胞質ドメイン、を含む5T4特異的CARであって、前記CARが、配列番号1に示される配列、又は配列番号1に対し少なくとも92%の配列同一性を有する配列を有する、5T4特異的CAR。

【請求項23】

モノクローナル抗5T4抗体由来のVH及びVLを含む細胞外リガンド結合ドメイン、ヒンジ、膜貫通ドメイン、並びにシグナル伝達ドメイン及び共刺激ドメインを含む細胞質ドメイン、を含む5T4特異的CARであって、前記CARが、配列番号13に示される配列、又は配列番号13に対し少なくとも70%の配列同一性を有する配列を有する、5T4特異的CAR。

【請求項24】

請求項22又は23に記載の5T4特異的CARを含む免疫細胞。

【請求項25】

請求項24に記載の免疫細胞の集団。

【請求項26】

前記細胞又は細胞の集団がT細胞である、請求項24に記載の免疫細胞又は請求項25に記載の細胞の集団。

【請求項27】

前記細胞又は細胞の集団がNK細胞又はNKT細胞である、請求項24に記載の免疫細胞又は請求項25に記載の細胞の集団。

【請求項28】

請求項24～27のいずれか1項に記載の細胞又は細胞の集団を含む組成物。

【請求項29】

医薬としての使用のための、請求項22又は23に記載の5T4特異的CAR、請求項24～27のいずれか1項に記載の細胞若しくは細胞の集団、又は請求項28に記載の組成物。

【請求項30】

癌の治療における使用のための、請求項22又は23に記載の5T4特異的CAR、請求項24～27のいずれか1項に記載の細胞若しくは細胞の集団、又は請求項28に記載の組成物。

【請求項31】

癌の治療又は予防のための医薬の製造における、請求項22又は23に記載の5T4特異的CAR、請求項24～27のいずれか1項に記載の細胞若しくは細胞の集団、又は請求項28に記載の組成物の使用。

【請求項32】

前記5T4特異的CAR、細胞、細胞集団、組成物又は医薬が、静脈内、腹腔内若しくは胸膜内投与される、又は静脈内、腹腔内若しくは胸膜内投与のためのものである、請求項30に記載の使用のための5T4特異的CAR、細胞、細胞集団若しくは組成物、又は請求項31に記載の使用。

【請求項 3 3】

前記癌が骨髄腫である、請求項30に記載の使用のための5T4特異的CAR、細胞、細胞集団若しくは組成物、又は請求項31に記載の使用。

【請求項 3 4】

前記癌が、卵巣癌又は中皮腫である、請求項30に記載の使用のための5T4特異的CAR、細胞、細胞集団若しくは組成物、又は請求項31に記載の使用。

【請求項 3 5】

前記対象が、5T4発現について事前スクリーニングされる、又は事前スクリーニングされている、請求項30に記載の使用のための5T4特異的CAR、細胞、細胞集団若しくは組成物、又は請求項31に記載の使用。

【請求項 3 6】

5T4特異的CARを発現する免疫細胞を作製する方法であって、前記方法が、前記CARを発現するウイルスベクターで前記免疫細胞に形質導入する工程を含む、方法。

【請求項 3 7】

前記ウイルスベクターがレンチウイルスベクターである、請求項36に記載の方法。

【請求項 3 8】

レンチウイルスベクターがHIV-1、HIV-2、SIV、FIV、BIV、EIAV、CAEV又はビスナレンチウイルスに由来する、請求項37に記載の方法。

【請求項 3 9】

対象における癌再発を予防又は低減するための、5T4標的剤を含む、組成物。

【請求項 4 0】

前記癌が、血液癌、又は固形腫瘍により特徴づけられる癌である、請求項39に記載の組成物。

【請求項 4 1】

前記血液癌が、慢性リンパ球性白血病、骨髄腫、急性骨髄性白血病及びB細胞急性リンパ芽球性リンパ腫から選択される、請求項40に記載の組成物。

【請求項 4 2】

固形腫瘍により特徴づけられる前記癌が、卵巣癌、膠芽腫及び結腸直腸癌から選択される、請求項40に記載の組成物。

【手続補正 2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0 4 4 7

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0 4 4 7】

本発明は特定の好ましい実施形態との関連において説明したが、請求項に記載の本発明はそのような特定の実施形態に不当に限定されるべきでないことは理解されるべきである。実際、分子生物学、細胞免疫学又は関連分野の当業者にとって明らかである、本発明を実施するための記載された様式の種々の変更は、特許請求の範囲内であることが意図されている。

本発明は以下の態様も提供する。

[1] 対象に5T4標的剤を投与することを含む、対象における血液癌を治療又は予防するための方法であって、前記血液癌が、前駆B細胞急性リンパ芽球性白血病（B-ALL）でない、方法。

[2] 前記5T4標的剤が、抗体又はその生物学的に活性な断片である、[1] に記載の方法。

[3] 前記抗体が、モノクローナル抗体又はその生物学的に活性な断片である、[2] に記載の方法。

[4] 前記モノクローナル抗体が、H8 5T4特異的抗体又は2E4 5T4特異的抗体に基づく、[3] に記載の方法。

[5] 前記抗体が抗体薬物コンジュゲートの形態である、[2] ~ [4]のいずれかに記載の方法。

[6] 前記5T4標的剤が免疫細胞である、[1] に記載の方法。

[7] 前記免疫細胞が、T細胞、NK細胞又はNKT細胞である、[6] に記載の方法。

[8] 前記免疫細胞がT細胞である、[7] に記載の方法。

[9] 前記細胞が、5T4特異的キメラ抗原受容体 (CAR) 又はT細胞受容体 (TCR) を含む、[6] ~ [8]のいずれかに記載の方法。

[10] 前記5T4標的剤が5T4ワクチンである、[1] に記載の方法。

[11] 前記5T4標的剤が静脈内投与により投与される、[1] ~ [10]のいずれかに記載の方法。

[12] 前記対象が哺乳類の対象である、[1] ~ [11]のいずれかに記載の方法。

[13] 前記対象がヒト対象である、[1] ~ [12]のいずれかに記載の方法。

[14] 前記血液癌が、白血病、リンパ腫又は骨髄腫から選択される、[1] ~ [13]のいずれかに記載の方法。

[15] 前記血液癌が、慢性リンパ球性白血病、骨髄腫、急性骨髄性白血病、B細胞急性リンパ芽球性白血病、慢性骨髄性白血病、及びT細胞急性リンパ芽球性白血病から選択される、[14] に記載の方法。

[16] 前記5T4標的剤が、更なる癌療法と組み合わせて同時に又は連続的に投与される、[1] ~ [15]のいずれかに記載の方法。

[17] 血液癌の治療又は予防における使用のための、[1] ~ [13]のいずれかに定義される5T4標的剤。

[18] 血液癌の治療又は予防のための医薬の製造における、[1] ~ [13]のいずれかに定義される5T4標的剤の使用。

[19] [1] ~ [16]のいずれかに記載の、対象における血液癌を治療又は予防するための方法であって、前記方法が、5T4発現について対象由来の試料を事前スクリーニングすることを含む、方法。

[20] 前記血液癌が、白血病、リンパ腫又は骨髄腫から選択される、[17] に記載の使用のための5T4標的剤、又は[18] に記載の5T4標的剤の使用。

[21] 前記血液癌が、慢性リンパ球性白血病、骨髄腫、急性骨髄性白血病、B細胞急性リンパ芽球性白血病、慢性骨髄性白血病、及びT細胞急性リンパ芽球性白血病から選択される、[17] に記載の使用のための5T4標的剤、又は[18] に記載の5T4標的剤の使用。

[22] 前記対象が、5T4発現について事前スクリーニングされる、又は事前スクリーニングされている、[17] に記載の使用のための5T4標的剤、又は[18] に記載の5T4標的剤の使用。

[23] モノクローナル抗5T4抗体由来のVH及びVLを含む細胞外リガンド結合ドメイン、ヒンジ、膜貫通ドメイン、並びにシグナル伝達ドメイン及び共刺激ドメインを含む細胞質ドメイン、を含む5T4特異的CARであって、前記CARが、配列番号1に示される配列、又は配列番号1に対し少なくとも92%の配列同一性を有する配列を有する、5T4特異的CAR。

[24] モノクローナル抗5T4抗体由来のVH及びVLを含む細胞外リガンド結合ドメイン、ヒンジ、膜貫通ドメイン、並びにシグナル伝達ドメイン及び共刺激ドメインを含む細胞質ドメイン、を含む5T4特異的CARであって、前記CARが、配列番号13に示される配列、又は配列番号13に対し少なくとも70%の配列同一性を有する配列を有する、5T4特異的CAR。

[25] [23] 又は[24] に記載の5T4特異的CARを含む免疫細胞。

[26] [25] に記載の免疫細胞の集団。

[27] 前記細胞又は細胞の集団がT細胞である、[25] に記載の免疫細胞又は[26] に記載の細胞の集団。

[2 8] 前記細胞又は細胞の集団がNK細胞又はNKT細胞である、[25] に記載の免疫細胞又は[26] に記載の細胞の集団。

[2 9] [25] ~ [28]のいずれかーに記載の細胞又は細胞の集団を含む組成物。

[3 0] [23] 又は[24]に記載の5T4特異的CAR、[25] ~ [28]のいずれかーに記載の細胞若しくは細胞の集団、又は[29] に記載の組成物を対象に投与することを含む、対象における癌を治療するための方法。

[3 1] 医薬としての使用のための、[23] 又は[24]に記載の5T4特異的CAR、[25] ~ [28]のいずれかーに記載の細胞若しくは細胞の集団、又は[29] に記載の組成物。

[3 2] 癌の治療における使用のための、[23] 又は[24]に記載の5T4特異的CAR、[25] ~ [28]のいずれかーに記載の細胞若しくは細胞の集団、又は[29] に記載の組成物。

[3 3] 癌の治療又は予防のための医薬の製造における、[23] 又は[24]に記載の5T4特異的CAR、[25] ~ [28]のいずれかーに記載の細胞若しくは細胞の集団、又は[29] に記載の組成物の使用。

[3 4] 前記5T4特異的CAR、細胞、細胞集団、組成物又は医薬が、静脈内、腹腔内若しくは胸膜内投与される、又は静脈内、腹腔内若しくは胸膜内投与のためのものである、[30] に記載の方法、[32] に記載の使用のための5T4特異的CAR、細胞、細胞集団若しくは組成物、又は[33] に記載の使用。

[3 5] 前記癌が骨髄腫である、[30] に記載の方法、[32] に記載の使用のための5T4特異的CAR、細胞、細胞集団若しくは組成物、又は[33] に記載の使用。

[3 6] 前記癌が、卵巣癌又は中皮腫である、[30] に記載の方法、[32] に記載の使用のための5T4特異的CAR、細胞、細胞集団若しくは組成物、又は[33] に記載の使用。

[3 7] 前記方法が、5T4発現について対象を事前スクリーニングすることを含む、[30] に記載の対象における骨髄腫を治療又は予防する方法。

[3 8] 前記対象が、5T4発現について事前スクリーニングされる、又は事前スクリーニングされている、[30] に記載の使用のための5T4標的剤、又は[33] に記載の5T4標的剤の使用。

[3 9] 5T4特異的CARを発現する免疫細胞を作製する方法であって、前記方法が、前記CARを発現するウイルスベクターで前記免疫細胞に形質導入する工程を含む、方法。

[4 0] 前記ウイルスベクターがレンチウイルスベクターである、[39] に記載の方法。

[4 1] レンチウイルスベクターがHIV-1、HIV-2、SIV、FIV、BIV、EIAV、CAEV又はヒスナレンチウイルスに由来する、[40] に記載の方法。

[4 2] 対象における癌再発を予防又は低減するための方法であって、前記方法は、[1] ~ [13]のいずれかーに定義される5T4標的剤を前記対象に投与することを含む、方法。

[4 3] 前記癌が、血液癌、又は固形腫瘍により特徴づけられる癌である、[42] に記載の方法。

[4 4] 前記血液癌が、慢性リンパ球性白血病、骨髄腫、急性骨髄性白血病及びB細胞急性リンパ芽球性リンパ腫から選択される、[43] に記載の方法。

[4 5] 固形腫瘍により特徴づけられる前記癌が、卵巣癌、膠芽腫及び結腸直腸癌から選択される、[43] に記載の方法。