

【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2年9月24日(2020.9.24)

【公表番号】特表2019-528284(P2019-528284A)

【公表日】令和1年10月10日(2019.10.10)

【年通号数】公開・登録公報2019-041

【出願番号】特願2019-509510(P2019-509510)

【国際特許分類】

A 6 1 K	48/00	(2006.01)
A 6 1 P	3/00	(2006.01)
A 6 1 P	3/10	(2006.01)
A 6 1 P	3/04	(2006.01)
A 6 1 P	3/06	(2006.01)
A 6 1 P	9/12	(2006.01)
A 6 1 P	1/16	(2006.01)
A 6 1 P	35/00	(2006.01)
A 6 1 P	13/12	(2006.01)
A 6 1 P	11/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/00	(2006.01)
A 6 1 P	21/00	(2006.01)
A 6 1 P	29/00	(2006.01)
A 6 1 P	9/10	(2006.01)
A 6 1 P	9/04	(2006.01)
A 6 1 P	9/14	(2006.01)
A 6 1 P	7/02	(2006.01)
A 6 1 P	43/00	(2006.01)
A 6 1 P	25/02	(2006.01)
A 6 1 P	27/10	(2006.01)
A 6 1 P	27/16	(2006.01)
A 6 1 P	19/08	(2006.01)
A 6 1 P	9/06	(2006.01)
A 6 1 P	11/14	(2006.01)
A 6 1 P	11/06	(2006.01)
A 6 1 P	11/16	(2006.01)
A 6 1 P	31/16	(2006.01)
A 6 1 P	31/14	(2006.01)
A 6 1 P	31/04	(2006.01)
A 6 1 P	31/06	(2006.01)
A 6 1 P	31/10	(2006.01)
A 6 1 P	31/12	(2006.01)
A 6 1 P	31/00	(2006.01)
A 6 1 P	33/02	(2006.01)
A 6 1 P	7/00	(2006.01)
A 6 1 P	37/04	(2006.01)
A 6 1 P	37/06	(2006.01)
A 6 1 K	35/17	(2015.01)
A 6 1 P	17/02	(2006.01)
A 6 1 P	3/08	(2006.01)
A 6 1 K	9/127	(2006.01)

A 6 1 K	47/24	(2006.01)
A 6 1 K	31/7105	(2006.01)
C 1 2 N	15/12	(2006.01)
C 1 2 N	15/09	(2006.01)
C 1 2 N	15/53	(2006.01)
A 0 1 K	67/027	(2006.01)
C 1 2 N	5/10	(2006.01)
C 1 2 N	15/13	(2006.01)
C 1 2 N	15/62	(2006.01)
C 1 2 N	5/0783	(2010.01)
C 1 2 N	5/078	(2010.01)
C 1 2 N	15/24	(2006.01)
C 1 2 N	15/54	(2006.01)
C 1 2 N	15/87	(2006.01)
C 1 2 N	15/68	(2006.01)
C 1 2 N	15/88	(2006.01)
C 1 2 N	15/85	(2006.01)
A 6 1 K	38/18	(2006.01)
A 6 1 K	38/17	(2006.01)
A 6 1 K	38/46	(2006.01)
A 6 1 K	38/44	(2006.01)
A 6 1 K	38/57	(2006.01)
A 6 1 K	39/395	(2006.01)
A 6 1 K	39/44	(2006.01)
A 6 1 K	38/20	(2006.01)
A 6 1 K	38/38	(2006.01)
C 1 2 N	15/15	(2006.01)

【 F I 】

A 6 1 K	48/00	
A 6 1 P	3/00	
A 6 1 P	3/10	
A 6 1 P	3/04	
A 6 1 P	3/06	
A 6 1 P	9/12	
A 6 1 P	1/16	
A 6 1 P	35/00	
A 6 1 P	13/12	
A 6 1 P	11/00	
A 6 1 P	9/00	
A 6 1 P	21/00	
A 6 1 P	29/00	
A 6 1 P	9/10	1 0 1
A 6 1 P	9/04	
A 6 1 P	9/10	
A 6 1 P	9/14	
A 6 1 P	7/02	
A 6 1 P	43/00	1 1 1
A 6 1 P	43/00	1 0 5
A 6 1 P	25/02	
A 6 1 P	27/10	

A 6 1 P	27/16	
A 6 1 P	25/02	1 0 1
A 6 1 P	19/08	
A 6 1 P	9/06	
A 6 1 P	11/14	
A 6 1 P	11/06	
A 6 1 P	11/16	
A 6 1 P	31/16	
A 6 1 P	31/14	
A 6 1 P	31/04	
A 6 1 P	31/06	
A 6 1 P	31/10	
A 6 1 P	31/12	
A 6 1 P	31/00	
A 6 1 P	33/02	
A 6 1 P	7/00	
A 6 1 P	37/04	
A 6 1 P	37/06	
A 6 1 K	35/17	Z
A 6 1 P	17/02	
A 6 1 P	3/08	
A 6 1 K	9/127	
A 6 1 K	47/24	
A 6 1 K	31/7105	
A 6 1 P	43/00	1 2 1
C 1 2 N	15/12	
C 1 2 N	15/09	1 0 0
C 1 2 N	15/09	1 1 0
C 1 2 N	15/53	
A 0 1 K	67/027	
C 1 2 N	5/10	
C 1 2 N	15/13	
C 1 2 N	15/62	Z
C 1 2 N	5/0783	
C 1 2 N	5/078	
C 1 2 N	15/24	
C 1 2 N	15/54	
C 1 2 N	15/87	Z
C 1 2 N	15/68	Z
C 1 2 N	15/88	Z
C 1 2 N	15/85	Z
A 6 1 K	38/18	
A 6 1 K	38/17	
A 6 1 K	38/46	
A 6 1 K	38/44	
A 6 1 K	38/57	
A 6 1 K	39/395	U
A 6 1 K	39/44	
A 6 1 K	38/20	
A 6 1 K	38/38	

C 1 2 N 15/15

【手続補正書】**【提出日】**令和2年8月14日(2020.8.14)**【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】**

腫瘍細胞を組成物と接触させることを含む、対象の癌を治療する方法において使用するための、非ウイルス性、無細胞の組成物であって、

前記対象の免疫応答の刺激または免疫応答の増大をもたらすために、前記組成物は、免疫チェックポイント分子遺伝子において、一本鎖または二本鎖切断を生成可能な遺伝子編集タンパク質をコードする合成RNAを含み、ここで一本鎖または二本鎖切断は前記腫瘍細胞のDNAにおいて生成され、前記一本鎖または二本鎖切断は前記腫瘍細胞の免疫チェックポイント分子遺伝子に局在する、組成物。

【請求項2】

前記遺伝子編集タンパク質が、クラスター化して規則的な配置の短い回文配列リピート(CRISPR)関連タンパク質、TALENおよびジンクフィンガーヌクレアーゼから選択される、請求項1に記載の組成物。

【請求項3】

前記遺伝子編集タンパク質が、TALENである、請求項1に記載の組成物。

【請求項4】

前記免疫チェックポイント分子遺伝子が、PD-1、PD-L1、PD-L2、CTLA-4、ICOS、LAG3、OX40、OX40L、およびTIM3から選択される請求項1に記載の組成物。

【請求項5】

前記合成RNAが、1つまたは複数の非標準ヌクレオチドを含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項6】

前記非標準のヌクレオチドが、5-ヒドロキシシチジン、5-メチルシチジン、5-ヒドロキシメチルシチジン、5-カルボキシシチジン、5-ホルミルシチジン、5-メトキシシチジン、ブソイドウリジン、5-ヒドロキシウリジン、5-メチルウリジン、5-ヒドロキシメチルウリジン、5-カルボキシウリジン、5-ホルミルウリジン、5-メトキシウリジン、5-ヒドロキシブソイドウリジン、5-メチルブソイドウリジン、5-ヒドロキシメチルブソイドウリジン、5-カルボキシブソイドウリジン、5-ホルミルブソイドウリジン、および5-メトキシブソイドウリジンの内の1つまたは複数を含む、請求項4に記載の組成物。

【請求項7】

前記合成RNAが、5-メトキシウリジンを含む、請求項6に記載の組成物。

【請求項8】

少なくとも約20%、または少なくとも約40%、または少なくとも約50%、または少なくとも約75%、または少なくとも約90%のウリジン残基が非標準ヌクレオチドであり、前記非標準ヌクレオチドが、ブソイドウリジン、5-ヒドロキシウリジン、5-メチルウリジン、5-ヒドロキシメチルウリジン、5-カルボキシウリジン、5-ホルミルウリジン、5-メトキシウリジン、5-ヒドロキシブソイドウリジン、5-メチルブソイドウリジン、5-ヒドロキシメチルブソイドウリジン、5-カルボキシブソイドウリジン、5-ホルミルブソイドウリジン、および5-メトキシブソイドウリジンから選択される

、請求項6に記載の組成物。

【請求項9】

前記合成RNAが、5'キャップ構造を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項10】

前記合成RNAが、コザックコンセンサス配列を含む5'-UTRを含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項11】

前記合成RNAが、インビオでRNAの安定性を高める配列を含む5'-UTRを含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項12】

前記合成RNAが、インビオでRNAの安定性を高める配列を含む3'-UTRを含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項13】

前記合成RNAが、3'ポリAテールを含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項14】

前記5'-UTRが、グロビンまたはグロビン5'-UTR配列を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項15】

前記3'-UTRが、グロビンまたはグロビン3'-UTR配列を含む、請求項1に記載の組成物。

【請求項16】

前記非ウイルス性、無細胞の組成物が、腫瘍内注入による前記対象における腫瘍細胞への送達用である、請求項1に記載の組成物。