

【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 5 年 6 月 19 日(2023.6.19)

【公開番号】特開 2022-162155(P2022-162155A)

【公開日】令和 4 年 10 月 21 日(2022.10.21)

【年通号数】公開公報(特許)2022-194

【出願番号】特願 2022-135735(P2022-135735)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/17(2015.01)

10

A 6 1 K 45/06(2006.01)

A 6 1 P 43/00(2006.01)

A 6 1 K 45/00(2006.01)

A 6 1 K 31/675(2006.01)

A 6 1 K 31/7076(2006.01)

A 6 1 K 31/4196(2006.01)

A 6 1 K 31/505(2006.01)

A 6 1 K 31/545(2006.01)

A 6 1 K 31/635(2006.01)

A 6 1 K 31/155(2006.01)

20

A 6 1 K 39/00(2006.01)

A 6 1 K 38/20(2006.01)

A 6 1 K 31/7088(2006.01)

A 6 1 K 48/00(2006.01)

A 6 1 K 47/26(2006.01)

A 6 1 K 47/02(2006.01)

A 6 1 K 38/21(2006.01)

A 6 1 K 35/76(2015.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

C 1 2 N 5/0783(2010.01)

30

C 1 2 N 5/10(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/09(2006.01)

C 1 2 Q 1/02(2006.01)

【F I】

A 6 1 K 35/17 Z

A 6 1 K 45/06

A 6 1 P 43/00 1 2 1

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 31/675

40

A 6 1 K 31/7076

A 6 1 K 31/4196

A 6 1 K 31/505

A 6 1 K 31/545

A 6 1 K 31/635

A 6 1 K 31/155

A 6 1 K 39/00 H

A 6 1 K 38/20

A 6 1 K 31/7088

A 6 1 K 48/00

50

A 6 1 K 47/26  
 A 6 1 K 47/02  
 A 6 1 K 38/21  
 A 6 1 K 35/76  
 A 6 1 P 35/00  
 C 1 2 N 5/0783 Z N A  
 C 1 2 N 5/10  
 C 1 2 N 15/12  
 C 1 2 N 15/09 1 1 0  
 C 1 2 Q 1/02

10

## 【手続補正書】

【提出日】令和5年6月9日(2023.6.9)

## 【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】

20

がんの処置における使用のための医薬組成物であって、前記医薬組成物は、遺伝子改変されたヒトT細胞の集団を含み、ここで、前記遺伝子改変されたヒトT細胞は、以下：

サイトカイン誘導性SH2含有タンパク質(CISH)遺伝子のゲノム破壊であって、ここで、前記ゲノム破壊は、前記CISH遺伝子によってコードされるタンパク質の発現を抑制する、ゲノム破壊；および、

外因性T細胞受容体(TCR)またはキメラ抗原受容体(CAR)

を含み、ここで、前記処置は、必要とする対象に前記医薬組成物を投与することを含み、前記医薬組成物の投与の前に、前記対象におけるリンパ球を枯渇させるのに十分な量の免疫抑制薬を含むリンパ球枯渇準備レジメンが前記対象に投与される、医薬組成物。

【請求項2】

30

前記ゲノム破壊が、CRISPR、亜鉛フィンガー、転写アクチベーター様エフェクターヌクレアーゼおよびこれらの任意の組合せからなる群から選択される系によって誘導される、請求項1に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項3】

前記ゲノム破壊が、前記サイトカイン誘導性SH2含有タンパク質遺伝子のエクソン2中である、請求項1に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項4】

前記ゲノム破壊が、前記サイトカイン誘導性SH2含有タンパク質遺伝子のエクソン3中である、請求項1に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項5】

40

前記ゲノム破壊が、配列番号70～配列番号81から選択される標的配列中にインデルを含む、請求項1に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項6】

前記免疫抑制薬が、シクロホスファミド、フルダラビン、メクロレタミン、クロラムブシル、メルファラン、イホスファミド、チオテパ、ヘキサメチルメラミン、ブスルファン、ニトロソウレア、白金、メトトレキサート、アザチオプリン、メルカプトプリン、プロカルバジン、ダカルバジン、テモゾロミド、カルムスチン、ロムスチン、ストレプトゾシン、フルオロウラシル、ダクチノマイシン、アントラサイクリン、マイトマイシンC、ブレオマイシン、ミスラマイシン、ミコフェノール酸モフェチル、ラパマイシン、シクロスポリン、デオキシスパガリン、可溶性補体受容体1、コブラ毒因子、コンプスタチン、メ

50

チルブレドニゾロン、レフルノミド、抗胸腺細胞グロブリン抗体、抗CD154抗体、抗CD40抗体、抗CD20抗体、抗IL-6R抗体、抗IL-6抗体、抗IL-2R抗体、抗CXCR3抗体、抗ICOS抗体、抗OX40抗体、または抗CD122抗体、抗C5抗体、Abatacept、ベラタセプト、シロリムス、エベロリムス、タクロリムス、ダクリズマブ、バシリキシマブ、インフリキシマブ、エクリズマブ、リツキシマブ、アレムツズマブ、トシリズマブ、サリルマブ、またはオロキズマブである、請求項1に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項7】

前記免疫抑制薬が、シクロホスファミド、フルダラビン、またはこれらの組み合わせである、請求項1または6に記載の使用のための医薬組成物。

10

【請求項8】

前記免疫抑制薬がシクロホスファミドであり、前記対象の体重1kg当たり約50mg～前記対象の体重1kg当たり80mgで投与される、請求項7に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項9】

前記免疫抑制薬がフルダラビンであり、前記対象の体表面積の約20mg/m<sup>2</sup>～約30mg/m<sup>2</sup>で投与される、請求項7に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項10】

前記医薬組成物が抗真菌剤と組み合わせて投与され、前記抗真菌剤が、

- a) 前記医薬組成物と同日で；
- b) 前記医薬組成物の後で；または
- c) a)とb)との両方で

20

投与される、請求項1～5のいずれか一項に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項11】

前記抗真菌剤が、フルコナゾール、ビホナゾール、ブトコナゾール、クロトリマゾール、エコナゾール、フェンチコナゾール、イソコナゾール、ケトコナゾール、ルリコナゾール、ミコナゾール、オモコナゾール、オキシコナゾール、セルタコナゾール、スルコナゾール、チオコナゾール、アルバコナゾール、エフィナコナゾール、エポキシコナゾール、イサブコナゾール、イトラコナゾール、ポサコナゾール、プロピコナゾール、ラブコナゾール、テルコナゾール、ポリコナゾール、アバファンギン、アモロルフィン、ブテナフィン、ナフチフィン、テルピナフィン、アニデュラファンギン、カスポファンギン、ミカファンギン、オーロン、安息香酸、シクロピロクス、フルシトシン、グリセオフルビン、ハロプロジン、トルナフテート、ウンデシレン酸、クリスタルバイオレットおよびペルーのバルサムからなる群から選択される、請求項10に記載の使用のための医薬組成物。

30

【請求項12】

前記抗真菌剤がフルコナゾールであり、前記フルコナゾールが1日当たり400mgの用量で投与される、請求項11に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項13】

前記医薬組成物が免疫刺激薬と組み合わせて投与され、前記免疫刺激薬がIL-2、IL-7、IL-12、IL-15、IL-21、G-CSFまたはこれらの任意の組合せである、請求項1～5のいずれか一項に記載の使用のための医薬組成物。

40

【請求項14】

前記免疫刺激薬が、

- a) 前記医薬組成物と同日で；
- b) 前記医薬組成物の後で；または
- c) a)とb)との両方で

投与される、請求項13に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項15】

前記医薬組成物が感染予防剤と組み合わせて投与され、前記感染予防剤が、ヘルペスウイルス予防薬剤であり、必要に応じて前記ヘルペスウイルス予防薬剤がバラシクロビルマ

50

たはアシクロビルである、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項 16】

前記がんが、消化器がん、乳がん、リンパ腫および前立腺がんからなる群から選択される、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項 17】

前記 C R I S P R 系が、配列番号 68 に示される核酸配列を含む、単離された非天然のガイド RNA を含む、請求項 2 に記載の使用のための医薬組成物。

【請求項 18】

前記遺伝子改変されたヒト T 細胞の集団が、C D 4 + T 細胞の集団と C D 8 + T 細胞の集団を含む、請求項 1 に記載の使用のための医薬組成物。 10

【請求項 19】

がんの処置における使用のための医薬組成物であって、前記医薬組成物は、以下：

サイトカイン誘導性 S H 2 含有タンパク質 ( C I S H ) 遺伝子のエクソン 2 またはエクソン 3 中にゲノム破壊を含む遺伝子改変されたヒト T 細胞の集団を含み、前記 C I S H 遺伝子中の前記ゲノム破壊が、前記 C I S H 遺伝子によってコードされるタンパク質の発現を抑制し、前記遺伝子改変されたヒト T 細胞の集団が C D 4 + T 細胞の集団と C D 8 + T 細胞の集団；ならびに、

外因性 T 細胞受容体 ( T C R ) またはキメラ抗原受容体 ( C A R )

を含み、ここで、前記処置が、必要とする対象に前記医薬組成物を投与することを含み、前記医薬組成物の投与の前に、前記対象におけるリンパ球を枯渇させるのに十分な量の免疫抑制薬を含むリンパ球枯渇準備レジメンが前記対象に投与される、医薬組成物。 20

【請求項 20】

前記ゲノム破壊が、配列番号 70 ~ 配列番号 81 から選択される標的配列中にインデルを含む、請求項 19 に記載の使用のための医薬組成物。

30

40

50