

【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 1 部門第 1 区分

【発行日】令和 3 年 9 月 30 日 (2021.9.30)

【公開番号】特開 2021-35395 (P2021-35395A)

【公開日】令和 3 年 3 月 4 日 (2021.3.4)

【年通号数】公開・登録公報 2021-012

【出願番号】特願 2020-199336 (P2020-199336)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/62 (2006.01)

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

C 1 2 N 15/867 (2006.01)

C 1 2 N 15/86 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

A 6 1 K 35/17 (2015.01)

A 6 1 K 35/15 (2015.01)

A 6 1 K 48/00 (2006.01)

A 6 1 P 43/00 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/62 Z N A Z

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/867 Z

C 1 2 N 15/86 Z

C 1 2 N 5/10

A 6 1 K 35/17 Z

A 6 1 K 35/15

A 6 1 K 48/00

A 6 1 P 43/00 1 0 5

A 6 1 P 35/00

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 8 月 20 日 (2021.8.20)

【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 つのポリペプチド：

(i)

(a) 重鎖定常ドメイン (C H)

(b) G M - C S F 受容体エンドドメインの第 1 の鎖を含む第 1 のポリペプチド；および

(i i)

(a) 前記重鎖定常ドメインと自発的に二量体化する、軽鎖定常ドメイン (C L)

(b) G M - C S F 受容体エンドドメインの第 2 の鎖を含む第 2 のポリペプチドを含む、キメラ膜貫通タンパク質であって、

ここで、前記重鎖定常ドメインと前記軽鎖定常ドメインとの自発的な二量体化は、前記 G M - C S F 受容体エンドドメインの第 1 の鎖を前記 G M - C S F 受容体エンドドメインの第 2 の鎖と一体にして、構成的なシグナル伝達をもたらす、キメラ膜貫通タンパク質。

【請求項 2】

前記第 1 のポリペプチドが、重鎖可変ドメイン (V H) および重鎖定常ドメイン (C H) を含み、前記第 2 のポリペプチドが、軽鎖可変ドメイン (V L) および軽鎖定常ドメイン (C L) を含む、請求項 1 に記載のキメラ膜貫通タンパク質。

【請求項 3】

F a b エキソドメインを含む、請求項 2 に記載のキメラ膜貫通タンパク質。

【請求項 4】

請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載のキメラ膜貫通タンパク質を含む細胞。

【請求項 5】

キメラ抗原受容体も含む、請求項 4 に記載の細胞。

【請求項 6】

前記キメラ抗原受容体が、腫瘍関連細胞表面抗原に結合する、請求項 5 に記載の細胞。

【請求項 7】

請求項 1 ~ 3 のいずれかに記載のキメラ膜貫通タンパク質をコードする核酸。

【請求項 8】

(a) 重鎖定常ドメイン (C H)

(b) G M - C S F 受容体エンドドメインの第 1 の鎖

を含む第 1 のポリペプチドをコードする第 1 の核酸配列および

(a) 前記重鎖定常ドメインと自発的に二量体化する、軽鎖定常ドメイン (C L)

(b) G M - C S F 受容体エンドドメインの第 2 の鎖

を含む第 2 のポリペプチドをコードする第 2 の核酸配列を含む核酸構築物であって、前記核酸構築物は、構造：

C H - T M 1 - エンド 1 - c o e x p r - C L - T M 2 - エンド 2

(ここで、

C H は、前記第 1 のポリペプチドの前記重鎖定常ドメインをコードする核酸配列であり；

T M 1 は、前記第 1 のポリペプチドの前記膜貫通ドメインをコードする核酸配列であり；

エンド 1 は、前記第 1 のポリペプチドの前記エンドドメインをコードする核酸配列であり

；

c o e x p r は、前記第 1 および第 2 のポリペプチドの両方の共発現を可能にする核酸配列であり、

C L は、前記第 2 のポリペプチドの前記軽鎖定常ドメインをコードする核酸配列であり；

T M 2 は、前記第 2 のポリペプチドの前記膜貫通ドメインをコードする核酸配列であり；

エンド 2 は、前記第 2 のポリペプチドの前記エンドドメインをコードする核酸配列である

)

を有する、核酸構築物であって、

ここで、前記重鎖定常ドメインと前記軽鎖定常ドメインとの自発的な二量体化は、前記 G M - C S F 受容体エンドドメインの第 1 の鎖を前記 G M - C S F 受容体エンドドメインの第 2 の鎖と一体にして、構成的なシグナル伝達をもたらす、核酸構築物。

【請求項 9】

キメラ抗原受容体 (C A R) もコードする、請求項 8 に記載の核酸構築物。

【請求項 10】

c o e x p r が、自己切断性ペプチドを含む配列をコードする、請求項 8 または 9 に記載の核酸構築物。

【請求項 11】

相同組換えを回避するために、代替的コドンが、同一または類似のアミノ酸配列をコードする配列の領域で使用される、請求項 8 ~ 10 のいずれかに記載の核酸構築物。

【請求項 12】

請求項 8 ～ 11 のいずれかに記載の核酸構築物を含むベクター。

【請求項 13】

請求項 12 に記載の、レトロウイルスベクターまたはレンチウイルスベクターまたはトランスポゾン。

【請求項 14】

i)

(a) 重鎖定常ドメイン (C H)

(b) G M - C S F 受容体エンドドメインの第 1 の鎖を含む第 1 のポリペプチドをコードする核酸配列を含むベクター ; および

i i)

(a) 前記重鎖定常ドメインと自発的に二量体化する、軽鎖定常ドメイン (C L)

(b) G M - C S F 受容体エンドドメインの第 2 の鎖を含む第 2 のポリペプチドをコードする核酸配列を含むベクターを含む、キットであって、

ここで、前記重鎖定常ドメインと前記軽鎖定常ドメインとの自発的な二量体化は、前記 G M - C S F 受容体エンドドメインの第 1 の鎖を前記 G M - C S F 受容体エンドドメインの第 2 の鎖と一体にして、構成的なシグナル伝達をもたらす、キット。

【請求項 15】

キメラ抗原受容体をコードする核酸配列を含むベクターも含む、請求項 14 に記載のキット。

【請求項 16】

i) 請求項 1 ～ 3 のいずれかに記載のキメラ膜貫通タンパク質をコードする核酸配列を含むベクター ; および

i i) キメラ抗原受容体をコードする核酸配列を含むベクターを含む、キット。

【請求項 17】

請求項 4 ～ 6 のいずれかに記載の細胞を作製するための方法であって、請求項 7 に記載の核酸 ; 請求項 8 ～ 11 のいずれかに記載の核酸構築物 ; 請求項 12 もしくは 13 に記載のベクター ; または請求項 14 ～ 16 のいずれかに記載のベクターのキットを細胞に導入する工程を含み、前記細胞が、被験体から単離された試料に由来する、方法。

【請求項 18】

請求項 4 ～ 6 のいずれかに記載の複数の細胞を含む、医薬組成物。

【請求項 19】

疾患を処置および / または予防するための請求項 18 に記載の医薬組成物。

【請求項 20】

以下の工程 :

(i) 請求項 7 に記載の核酸 ; 請求項 8 ～ 11 のいずれかに記載の核酸構築物 ; 請求項 12 もしくは 13 に記載のベクター ; または請求項 14 ～ 16 のいずれかに記載のベクターのキットで前記細胞が形質導入またはトランスフェクションされ、

(i i) 前記被験体に (i) からの前記細胞が投与されることを特徴とする、請求項 19 に記載の医薬組成物。

【請求項 21】

前記試料が、T 細胞含有試料である、請求項 20 に記載の医薬組成物。

【請求項 22】

前記疾患が、がんである、請求項 20 または 21 に記載の医薬組成物。

【請求項 23】

疾患の処置および / または予防において使用するための、請求項 18 に記載の医薬組成物。

【請求項 24】

疾患を処置および / または予防するための医薬の製造における、請求項 4 ～ 6 のいずれ

かに記載の細胞の使用。

【請求項 25】

疾患を処置および／または予防するための、請求項 4 ～ 6 のいずれかに記載の細胞を含む組成物。