

【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 6 月 10 日 (2021.6.10)

【公表番号】特表 2020-518276 (P2020-518276A)

【公表日】令和 2 年 6 月 25 日 (2020.6.25)

【年通号数】公開・登録公報 2020-025

【出願番号】特願 2019-561141 (P2019-561141)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

C 1 2 N 15/113 (2010.01)

C 1 2 N 15/62 (2006.01)

C 1 2 N 15/09 (2006.01)

C 1 2 N 15/55 (2006.01)

C 1 2 N 15/86 (2006.01)

C 1 2 N 15/861 (2006.01)

C 1 2 N 15/867 (2006.01)

C 1 2 N 15/864 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 5/0783 (2010.01)

C 1 2 N 1/02 (2006.01)

A 6 1 K 35/17 (2015.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 P 37/04 (2006.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/12 Z N A

C 1 2 N 15/113 Z

C 1 2 N 15/62 Z

C 1 2 N 15/09 1 1 0

C 1 2 N 15/55

C 1 2 N 15/86 Z

C 1 2 N 15/861 Z

C 1 2 N 15/867 Z

C 1 2 N 15/864 1 0 0 Z

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 5/0783

C 1 2 N 1/02

A 6 1 K 35/17 Z

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 37/04

A 6 1 P 35/02

【手続補正書】

【提出日】令和 3 年 4 月 26 日 (2021.4.26)

【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】

遺伝子改変ヒト T 細胞を産生する方法であって、前記方法は、

(a) 核酸分子を前記ヒト T 細胞に導入すること、ここで、前記核酸分子は、

(i) キメラ抗原受容体をコードする核酸配列を含む第 1 の発現カセットと；

(i i) ベータ 2 ミクログロブリンに対して阻害性である RNA 干渉分子をコードする核酸配列を含む第 2 の発現カセットと；

(i i i) 5' 相同性アームと；

(i v) 3' 相同性アームと；を含み、前記 5' 相同性アーム及び前記 3' 相同性アームが、T 細胞受容体 (TCR) アルファ定常領域遺伝子内のヌクレアーゼ認識配列に隣接する染色体領域と相同性を有し、及び

(b) 前記ヌクレアーゼ認識配列に対して特異性を有する操作されたヌクレアーゼをコードする mRNA を前記ヒト T 細胞に導入すること、ここで、前記操作されたヌクレアーゼが前記細胞内で発現され；

を含み、

ここで、前記核酸分子が、AAV6 の血清型を有するアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターを使用して前記ヒト T 細胞に導入され、

前記操作されたヌクレアーゼが、前記ヒト T 細胞のゲノム中の前記ヌクレアーゼ認識配列に結合して切断し、切断部位を生成し、

前記核酸分子が、相同組換えにより前記切断部位で前記ヒト T 細胞のゲノムに挿入され、及び

前記遺伝子改変ヒト T 細胞でのベータ 2 ミクログロブリンの細胞表面発現が、細胞表面ベータ 2 ミクログロブリン発現を低下させるように遺伝子改変されていない対照細胞での細胞表面ベータ 2 ミクログロブリン発現と比較して、約 90% から約 95% 低下している、遺伝子改変ヒト T 細胞を産生する方法。

【請求項 2】

前記操作されたヌクレアーゼが、操作されたメガヌクレアーゼ、TALEN、ジンクフィンガーヌクレアーゼ (ZFN)、CRISPR/Cas、コンパクト TALEN、又はメガ TAL である、請求項 1 記載の方法。

【請求項 3】

前記操作されたヌクレアーゼが、操作されたメガヌクレアーゼである、請求項 1 又は 2 に記載の方法。

【請求項 4】

前記ヌクレアーゼ認識配列が配列番号 1 からなる、請求項 1 ～ 3 のいずれか一項に記載の方法。

【請求項 5】

請求項 1 ～ 4 のいずれか一項に記載の方法により作製された、遺伝子改変ヒト T 細胞。

【請求項 6】

薬学的に許容可能な担体と、治療的有效量の請求項 5 に記載の前記遺伝子改変ヒト T 細胞と、を含む、医薬組成物。