

【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 12 月 24 日 (2020.12.24)

【公表番号】特表 2020-502048 (P2020-502048A)

【公表日】令和 2 年 1 月 23 日 (2020.1.23)

【年通号数】公開・登録公報 2020-003

【出願番号】特願 2019-523634 (P2019-523634)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/17 (2015.01)

A 6 1 K 35/76 (2015.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

A 6 1 P 7/00 (2006.01)

A 6 1 K 39/00 (2006.01)

A 6 1 K 9/08 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 1 2 N 15/867 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 35/17 Z N A Z

A 6 1 K 35/76

A 6 1 P 35/02

A 6 1 P 7/00

A 6 1 K 39/00 G

A 6 1 K 9/08

C 1 2 N 5/10

C 1 2 N 15/867 Z

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 11 月 12 日 (2020.11.12)

【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】

治療上有効な量の抗 B 細胞成熟抗原 (BCMA) キメラ抗原受容体 (CAR) T 細胞を含む組成物であって、前記治療上有効な量が、約 5.0×10^7 を超える抗 BCMA CAR T 細胞であり、前記抗 BCMA CAR が、配列番号 9 に記載されるアミノ酸配列を含む、組成物。

【請求項 2】

薬学的に許容される担体をさらに含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

50:50 の PlasmaLyte A 対 CryoStor CS10 を含む溶液中に配合される、請求項 1 または請求項 2 に記載の組成物。

【請求項 4】

(a) 前記治療上有効な量が、少なくとも約 15.0×10^7 の抗 BCMA CAR T 細胞である、

(b) 前記治療上有効な量が、少なくとも約 45.0×10^7 の抗 BCMA CAR T 細胞である、

(c) 前記治療上有効な量が、少なくとも約 80.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞である、

(d) 前記治療上有効な量が、少なくとも約 12.0×10^8 の抗BCMA CAR T細胞である、

(e) 前記治療上有効な量が、約 5.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 15.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞である、

(f) 前記治療上有効な量が、約 5.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 45.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞である、

(g) 前記治療上有効な量が、約 5.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 80.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞である、

(h) 前記治療上有効な量が、約 5.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 12.0×10^8 の抗BCMA CAR T細胞である、

(i) 前記治療上有効な量が、約 15.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 45.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞である、

(j) 前記治療上有効な量が、約 15.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 80.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞である、または

(k) 前記治療上有効な量が、約 15.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 12.0×10^8 の抗BCMA CAR T細胞である、

請求項1～3のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項5】

前記抗BCMA CAR T細胞が、前記抗BCMA CARをコードするレンチウイルスベクターで形質導入される、請求項1～4のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項6】

前記レンチウイルスベクターコピー数(VCN)が、1つの抗BCMA CAR T細胞当たり約2.0コピーである、請求項5に記載の組成物。

【請求項7】

前記レンチウイルスベクターが、ヒト免疫不全ウイルス1(HIV-1)ベクターである、請求項5または請求項6に記載の組成物。

【請求項8】

抗BCMA CARをコードするレンチウイルスで形質導入されたT細胞の集団を含む医薬組成物であって、T細胞の集団が、約 5.0×10^7 を超える抗BCMA CAR T細胞を含み、前記抗BCMA CARが、配列番号9に記載されるアミノ酸配列を含む、医薬組成物。

【請求項9】

治療上許容される担体をさらに含む、請求項8に記載の医薬組成物。

【請求項10】

(a) 前記組成物が、少なくとも約 15.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞を含む、

(b) 前記組成物が、少なくとも約 45.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞を含む、

(c) 前記組成物が、少なくとも約 80.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞を含む、

(d) 前記組成物が、少なくとも約 12.0×10^8 の抗BCMA CAR T細胞を含む、

(e) 前記組成物が、約 5.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 15.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞を含む、

(f) 前記組成物が、約 5.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 45.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞を含む、

(g) 前記組成物が、約 5.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞～約 80.0×10^7 の抗BCMA CAR T細胞を含む、

(h) 前記組成物が、約 5.0×10^7 の抗 B C M A C A R T 細胞～約 12.0×10^8 の抗 B C M A C A R T 細胞を含む、

(i) 前記組成物が、約 15.0×10^7 の抗 B C M A C A R T 細胞～約 45.0×10^7 の抗 B C M A C A R T 細胞を含む、

(j) 前記組成物が、約 15.0×10^7 の抗 B C M A C A R T 細胞～約 80.0×10^7 の抗 B C M A C A R T 細胞を含む、または

(k) 前記組成物が、約 15.0×10^7 の抗 B C M A C A R T 細胞～約 12.0×10^8 の抗 B C M A C A R T 細胞を含む、

請求項 8 または請求項 9 に記載の医薬組成物。

【請求項 11】

前記 T 細胞が、C D 8 ⁺ T 細胞を含む、請求項 8 ～ 10 のいずれか一項に記載の医薬組成物。

【請求項 12】

再発性／難治性多発性骨髄腫と診断された対象または再発性／難治性多発性骨髄腫を有する対象の治療における使用のための、請求項 1 ～ 11 のいずれか一項に記載の組成物。

【請求項 13】

(a) 前記多発性骨髄腫が、プロテアソーム阻害薬および免疫調節剤を含む少なくとも 3 つの治療計画に対して難治性であった、

(b) 前記多発性骨髄腫が、1 つ以上の治療計画に対して二重難治性であった、または

(c) 前記多発性骨髄腫が、ダラツムマブ、レナリドミド、ボマリドミド、ボルテゾミブ、および／またはカルフィルゾミブに対して難治性であったことを特徴とする、請求項 12 に記載の組成物。

【請求項 14】

前記対象が、以前に自家造血幹細胞移植で治療されていることを特徴とする、請求項 12 または 13 に記載の方法。

【請求項 15】

前記対象が、以前にシクロホスファミド $300 \text{ mg} / \text{m}^2$ およびフルダラビン $30 \text{ mg} / \text{m}^2$ でリンパ枯渇されていることを特徴とする、請求項 12 ～ 14 のいずれか一項に記載の組成物。