

【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6年11月12日(2024.11.12)

【国際公開番号】WO2022/099026

【公表番号】特表2023-548555(P2023-548555A)

【公表日】令和5年11月17日(2023.11.17)

【年通号数】公開公報(特許)2023-217

【出願番号】特願2023-527028(P2023-527028)

【国際特許分類】

C 1 2 N 15/62(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 0 7 K 19/00(2006.01)

C 0 7 K 14/725(2006.01)

C 1 2 N 15/63(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 5/10(2006.01)

C 1 2 P 21/02(2006.01)

A 6 1 K 35/17(2015.01)

A 6 1 K 38/17(2006.01)

A 6 1 P 35/00(2006.01)

A 6 1 P 35/02(2006.01)

A 6 1 P 37/04(2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/62 Z Z N A

C 1 2 N 15/12

C 0 7 K 19/00

C 0 7 K 14/725

C 1 2 N 15/63 Z

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 5/10

C 1 2 P 21/02 C

A 6 1 K 35/17

A 6 1 K 38/17

A 6 1 P 35/00

A 6 1 P 35/02

A 6 1 P 37/04

【手続補正書】

【提出日】令和6年11月1日(2024.11.1)

【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】

10

20

30

40

50

## 【請求項 1】

CD 19 / CD 22 抗原結合性ドメインを含む少なくとも1つの細胞外抗原結合性ドメイン、少なくとも1つの膜貫通ドメイン、および少なくとも1つの細胞内シグナル伝達ドメインを含むCD 19 / CD 22 タンデムキメラ抗原受容体 (CAR) をコードし、前記CD 19 / CD 22 タンデムキメラ抗原受容体 (CAR) が、配列番号 84 または 86 を含むヌクレオチド配列によってコードされる、単離された核酸分子。

## 【請求項 2】

請求項 1 に記載の核酸分子を含むベクター。

## 【請求項 3】

DNA ベクター、RNA ベクター、プラスミドベクター、コスミドベクター、ヘルペスウイルスベクター、麻疹ウイルスベクター、レンチウイルスベクター、アデノウイルスベクター、またはレトロウイルスベクター、またはそれらの組合せからなる群から選択される、請求項 2 に記載のベクター。

10

## 【請求項 4】

請求項 2 に記載のベクターを含む細胞。

## 【請求項 5】

請求項 2 に記載のベクターを T 細胞に形質導入するステップを含む、細胞を作製する方法。

## 【請求項 6】

抗腫瘍有効量のヒト T 細胞集団を含む医薬組成物であって、前記 T 細胞がキメラ抗原受容体 (CAR) をコードする核酸配列を含み、前記 CAR が CD 19 / CD 22 抗原結合性ドメインを含む少なくとも1つの細胞外抗原結合性ドメイン、少なくとも1つの膜貫通ドメイン、および少なくとも1つの細胞内シグナル伝達ドメインを含み、前記 CD 19 / CD 22 タンデム CAR が、配列番号 85 または 87 を含むアミノ酸配列を含み、前記 T 細胞ががんを有するヒトの T 細胞である、医薬組成物。

20

## 【請求項 7】

がんを処置するための医薬の製造のための T 細胞集団の使用であって、前記 T 細胞が、CD 19 / CD 22 抗原結合性ドメインを含む少なくとも1つの細胞外抗原結合性ドメイン、少なくとも1つの膜貫通ドメイン、および少なくとも1つの細胞内シグナル伝達ドメインを含むキメラ抗原受容体 (CAR) をコードする核酸配列を含み、前記 CD 19 / CD 22 タンデム CAR が、配列番号 85 または 87 を含むアミノ酸配列を含み、それにより対象のがんが治療される、使用。

30

## 【請求項 8】

前記少なくとも1つの膜貫通ドメインが、T 細胞受容体のアルファ、ベータもしくはゼータ鎖、CD 8、CD 28、CD 3 イプシロン、CD 45、CD 4、CD 5、CD 9、CD 16、CD 22、CD 33、CD 37、CD 64、CD 80、CD 83、CD 86、CD 134、CD 137、CD 154、および TNFRSF 19、またはそれらの任意の組合せを含むタンパク質の膜貫通ドメインを含む、請求項 7 に記載の使用。

## 【請求項 9】

前記少なくとも1つの CD 19 / CD 22 抗原結合性ドメイン、前記少なくとも1つの細胞内シグナル伝達ドメイン、またはその両方が、リンカーまたはスペーサドメインによって前記膜貫通ドメインに接続されている、請求項 7 に記載の使用。

40

## 【請求項 10】

前記リンカーまたはスペーサドメインが、CD 8 または CD 28 の細胞外ドメインに由来し、膜貫通ドメイン連結されている、請求項 9 に記載の使用。

## 【請求項 11】

前記少なくとも1つの細胞外 CD 19 / CD 22 抗原結合性ドメインに、リーダーペプチドをコードするリーダーヌクレオチド配列が先行する、請求項 7 に記載の使用。

## 【請求項 12】

前記少なくとも1つの細胞内シグナル伝達ドメインが、OX 40、CD 70、CD 27、

50

CD28、CD5、ICAM-1、LFA-1(CD11a/CD18)、ICOS(CD278)、DAP10、DAP12および4-1BB(CD137)なる群から選択される機能的シグナル伝達ドメイン、またはそれらの任意の組合せを含む共刺激ドメインを含む、請求項7に記載の単離された使用。

【請求項13】

前記CD19/CD22タンデムキメラ抗原受容体(CAR)をコードする前記核酸配列が、配列番号84もしくは86を含むヌクレオチド配列、または85%、90%、95%、96%、97%、98%もしくは99%の同一性を有するその配列によってコードされる、請求項7に記載の使用。

【請求項14】

前記少なくとも1つの細胞内シグナル伝達ドメインが、共刺激ドメイン、一次シグナル伝達ドメイン、またはそれらの任意の組合せを含む、請求項7に記載の使用。

【請求項15】

前記少なくとも1つの細胞内シグナル伝達ドメインが、CD3ゼータ細胞内ドメインをさらに含む、請求項7に記載の使用。

【請求項16】

がんが血液学的是である、請求項7に記載の使用。

【請求項17】

前記血液学的是がんが、白血病またはリンパ腫である、請求項16に記載の使用。

【請求項18】

前記白血病が、慢性リンパ性白血病(CLL)、急性リンパ性白血病(ALL)または慢性骨髄性白血病(CML)である、請求項17に記載の使用。

【請求項19】

前記リンパ腫が、マントル細胞リンパ腫、非ホジキンリンパ腫またはホジキンリンパ腫である、請求項17に記載の使用。

【請求項20】

がんが、口腔および咽頭がん、消化器系がん、呼吸器系がん、骨および関節のがん、軟組織がん、皮膚がん、小児腫瘍、中枢神経系の腫瘍、ならびに乳房、生殖系、泌尿器系、眼および眼窩、内分泌系ならびに脳のがんからなる群から選択される、請求項7に記載の使用。

10

20

30

40

50