

【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7年4月15日(2025.4.15)

【公開番号】特開2024-138280(P2024-138280A)
 【公開日】令和6年10月8日(2024.10.8)
 【年通号数】公開公報(特許)2024-188
 【出願番号】特願2024-97538(P2024-97538)
 【国際特許分類】

C 1 2 N 15/62(2006.01)

10

C 1 2 N 15/13(2006.01)

C 1 2 N 15/12(2006.01)

C 1 2 N 15/63(2006.01)

C 1 2 N 5/10(2006.01)

【F I】

C 1 2 N 15/62 Z Z N A

C 1 2 N 15/13

C 1 2 N 15/12

C 1 2 N 15/62 Z

C 1 2 N 15/63 Z

20

C 1 2 N 5/10

【手続補正書】

【提出日】令和7年4月4日(2025.4.4)

【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】

30

【請求項1】

(a) CD33抗原結合性ドメイン、

(b) 膜貫通ドメイン；および

(c) 細胞内ドメイン

を含む、キメラ抗原受容体(CAR)。

【請求項2】

膜貫通ドメインが、配列番号18と少なくとも90%の同一性を有するポリペプチドを含む、請求項1に記載のCAR。

【請求項3】

細胞内ドメインが、CD28または4-1BB共刺激シグナル伝達ドメインを含む、請求項1に記載のCAR。

40

【請求項4】

細胞内ドメインが、配列番号28と少なくとも90%の同一性を有するポリペプチドを含む、請求項1に記載のCAR。

【請求項5】

CD33抗原結合性ドメインが、

(a) 配列番号1と少なくとも90%の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号3と少なくとも90%の同一性を有するポリペプチド；

(b) 配列番号9と少なくとも90%の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号10と少なくとも90%の同一性を有するポリペプチド；

50

(c) 配列番号 1 1 と少なくとも 9 0 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 2 と少なくとも 9 0 % の同一性を有するポリペプチド；または

(d) 配列番号 1 3 と少なくとも 9 0 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 4 と少なくとも 9 0 % の同一性を有するポリペプチド

を含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 6】

C D 3 3 抗原結合性ドメインが、

(a) 配列番号 1 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 3 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチド；

(b) 配列番号 9 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 0 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチド；

(c) 配列番号 1 1 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 2 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチド；または

(d) 配列番号 1 3 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 4 と少なくとも 9 5 % の同一性を有するポリペプチド

を含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 7】

C D 3 3 抗原結合性ドメインが、

(a) 配列番号 1 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 3 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチド；

(b) 配列番号 9 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 0 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチド；

(c) 配列番号 1 1 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 2 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチド；または

(d) 配列番号 1 3 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチドおよび配列番号 1 4 と少なくとも 9 8 % の同一性を有するポリペプチド

を含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 8】

C D 3 3 抗原結合性ドメインが、

(a) 配列番号 1 のアミノ酸配列を含むポリペプチドおよび配列番号 3 のアミノ酸配列を含むポリペプチド；

(b) 配列番号 9 のアミノ酸配列を含むポリペプチドおよび配列番号 1 0 のアミノ酸配列を含むポリペプチド；

(c) 配列番号 1 1 のアミノ酸配列を含むポリペプチドおよび配列番号 1 2 のアミノ酸配列を含むポリペプチド；または

(d) 配列番号 1 3 のアミノ酸配列を含むポリペプチドおよび配列番号 1 4 のアミノ酸配列を含むポリペプチド

を含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 9】

C D 3 3 抗原結合性ドメインが：(a) 配列番号 1 のアミノ酸配列を含むポリペプチド；および配列番号 3 のアミノ酸配列を含むポリペプチドを含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 1 0】

C D 3 3 抗原結合性ドメインが、配列番号 8 のアミノ酸配列を含むポリペプチドを含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 1 1】

細胞内ドメインが、配列番号 2 6 と少なくとも 9 0 % の同一性を有するポリペプチドを含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 1 2】

ストロクドメインをさらに含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 1 3】

10

20

30

40

50

ストロクドメインが、配列番号 22 と少なくとも 90% の同一性を有するポリペプチドを含む、請求項 12 に記載の C A R。

【請求項 14】

配列番号 39 のアミノ酸配列を含む、請求項 1 に記載の C A R。

【請求項 15】

請求項 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の C A R をコードする核酸。

【請求項 16】

細胞タグをさらにコードする、請求項 15 に記載の核酸。

【請求項 17】

細胞タグが、切断型上皮増殖因子受容体を含む、請求項 16 に記載の核酸。

10

【請求項 18】

細胞タグが、配列番号 54 と少なくとも 90% の同一性を有するポリペプチドを含む、請求項 17 に記載の核酸。

【請求項 19】

サイトカインをさらにコードする、請求項 15 に記載の核酸。

【請求項 20】

サイトカインが、膜結合型 I L 15 である、請求項 19 に記載の核酸。

【請求項 21】

配列番号 37 と少なくとも 90% の同一性を有するポリペプチドをコードする、請求項 20 に記載の核酸。

20

【請求項 22】

請求項 15 に記載の核酸を含むベクター。

【請求項 23】

ベクターが、S l e e p i n g B e a u t y トランスポゾンである、請求項 22 に記載のベクター。

【請求項 24】

請求項 1 ~ 14 のいずれか一項に記載の C A R を含む、免疫エフェクター細胞。

【請求項 25】

細胞タグをさらに含む、請求項 24 に記載の免疫エフェクター細胞。

【請求項 26】

膜結合型 I L 15 をさらに含む、請求項 24 に記載の免疫エフェクター細胞。

30

【請求項 27】

免疫エフェクター細胞が、T 細胞またはナチュラルキラー (N K) 細胞である、請求項 24 に記載の免疫エフェクター細胞。

【請求項 28】

免疫エフェクター細胞が、T 細胞である、請求項 24 に記載の免疫エフェクター細胞。

【請求項 29】

ヒト対象における、標的細胞集団または標的組織に対する T 細胞媒介性免疫応答を刺激するのに使用される組成物であって、請求項 24 に記載の免疫エフェクター細胞の有効量を含む、組成物。

40

【請求項 30】

ヒト対象が、がんと診断されている、請求項 29 に組成物。

【請求項 31】

ヒト対象が、急性骨髄性白血病 (A M L) と診断されている、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 32】

ヒト対象が、再発性または難治性 A M L と診断されている、請求項 29 に記載の組成物。

【請求項 33】

免疫エフェクター細胞内で C A R を発現させるための系であって、請求項 23 に記載のベクターおよび S l e e p i n g B e a u t y トランスポザーゼを含む、系。

50

【請求項 3 4】

改変 T 細胞を作製する方法であって、T 細胞または T 細胞の前駆細胞を請求項 2 2 に記載のベクターでトランスフェクトするステップを含む、方法。

【請求項 3 5】

改変 T 細胞の増殖または生存を刺激する方法であって、T 細胞または T 細胞の前駆細胞を請求項 2 2 に記載のベクターで *in vitro* においてトランスフェクトするステップを含む、方法。

10

20

30

40

50