

【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 4 年 7 月 4 日(2022.7.4)

【国際公開番号】WO2020/002540

【公表番号】特表 2021-528096(P2021-528096A)

【公表日】令和 3 年 10 月 21 日(2021.10.21)

【出願番号】特願 2020-573481(P2020-573481)

【国際特許分類】

C 1 2 N 5/071(2010.01)  
A 6 1 K 35/12(2015.01)  
A 6 1 K 31/7088(2006.01)  
A 6 1 K 48/00(2006.01)  
A 6 1 P 7/06(2006.01)  
A 6 1 P 25/00(2006.01)  
A 6 1 P 29/00(2006.01)  
A 6 1 P 37/02(2006.01)  
A 6 1 K 38/16(2006.01)  
C 1 2 N 5/0781(2010.01)  
C 1 2 N 5/0783(2010.01)  
C 1 2 N 5/0786(2010.01)  
C 1 2 N 5/078(2010.01)  
C 1 2 N 15/12(2006.01)

10

20

【F I】

C 1 2 N 5/071 Z N A  
A 6 1 K 35/12  
A 6 1 K 31/7088  
A 6 1 K 48/00  
A 6 1 P 7/06  
A 6 1 P 25/00  
A 6 1 P 29/00  
A 6 1 P 37/02  
A 6 1 K 38/16  
C 1 2 N 5/0781  
C 1 2 N 5/0783  
C 1 2 N 5/0786  
C 1 2 N 5/078  
C 1 2 N 15/12

30

【手続補正書】

40

【提出日】令和 4 年 6 月 24 日(2022.6.24)

【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】

以下：

(a) 修飾 RNA を含む 1 つ以上の脂質ナノ粒子(LNP)を提供するステップ；

50

(b) 細胞による L N P 取込みを可能にする条件下で、1 つ以上の前記細胞を L N P と接触させるステップ；及び

(c) 前記 1 つ以上の細胞により産生されるエキソソームを単離するステップを含むプロセスにより調製される修飾 R N A を含む単離エキソソームであって、ここで、前記少なくとも 1 つの単離エキソソームは、前記修飾 R N A を含む、単離エキソソーム。

【請求項 2】

前記 L N P が、少なくとも 1 つのイオン化脂質、リン脂質、構造脂質、及び / 又は P E G 脂質を含み、ここで所望により、

(a) 前記少なくとも 1 つのイオン化脂質が、D L i n - M C 3 - D M A 及び / 又は D L i n - D M A である；および / または

10

(b) 前記少なくとも 1 つのリン脂質が、D S P C である；および / または

(c) 前記少なくとも 1 つの構造脂質が、コレステロールである；および / または

(d) 前記少なくとも 1 つの P E G 脂質が、P E G - D M P E 又は P E G 2 0 0 0 - D M P E である、

請求項 1 に記載のエキソソーム。

【請求項 3】

前記 L N P が、D L i n - M C 3 - D M A 若しくは D L i n - D M A であるイオン化脂質、D S P C であるリン脂質、コレステロールである構造脂質、及び / 又は P E G - D M P E 若しくは P E G 2 0 0 0 - D M P E である P E G 脂質を含有する、請求項 1 または 2 に記載のエキソソーム。

20

【請求項 4】

前記 L N P が、約 2 : 1 ~ 約 4 : 1、又は約 4 : 1、約 3 : 1、又は約 2 : 1 のイオン化脂質：修飾 R N A ヌクレオチドモル比を有する、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載のエキソソーム。

【請求項 5】

前記エキソソームが、少なくとも 1 つのイオン化脂質、リン脂質、構造脂質、及び / 又は P E G 脂質を含む、請求項 1 ~ 4 のいずれか 1 項に記載のエキソソーム。

【請求項 6】

前記エキソソームが、約 1 : 1 ~ 約 3 : 1、又は約 3 : 1、約 2 : 1、約 1 : 1、又は約 1 : 1 未満のイオン化脂質：修飾 R N A ヌクレオチドモル比を含み、

30

所望により、イオン化脂質：修飾 R N A ヌクレオチドモル比が、前記 L N P のイオン化脂質：修飾 R N A ヌクレオチドモル比より低い、

請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項に記載のエキソソーム。

【請求項 7】

前記細胞が、被験者から取得され；所望により (a) 前記細胞が、上皮細胞、免疫細胞、前駆細胞、又は幹細胞である；または (b) 前記細胞が、B リンパ球、T リンパ球、又は単球である、請求項 1 ~ 6 のいずれか 1 項に記載のエキソソーム。

【請求項 8】

前記プロセスが、インビトロで実施される、請求項 1 ~ 7 のいずれか 1 項に記載のエキソソーム。

40

【請求項 9】

エキソソームを単離するステップが、インビトロ細胞培地のサンプルからエキソソームを単離するステップを含む、請求項 1 ~ 8 のいずれか 1 項に記載のエキソソーム。

【請求項 10】

請求項 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載の少なくとも 1 つのエキソソームと、薬学的に許容可能な担体とを含む医薬組成物。

【請求項 11】

被験者の障害を処置又は予防する方法における使用のための、請求項 10 に記載の医薬組成物であって、前記方法が、有効量の請求項 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載のエキソソーム又は請求項 10 に記載の医薬組成物を前記被験者に投与するステップを含み、ここで、前

50

記エキソソームが、前記障害を処置する上で有効な修飾RNAを含む、医薬組成物。

【請求項12】

前記エキソソームが、前記被験者から取得された細胞から単離される、請求項11に記載の医薬組成物。

【請求項13】

被験者の障害を処置又は予防する方法における使用のための医薬組成物であって、前記方法が以下：

- (a) 前記被験者から取得された1つ以上の細胞を提供するステップ；
- (b) 前記細胞によるLNP取込みを可能にする条件下で、修飾RNAを含む1つ以上の脂質ナノ粒子(LNP)と前記1つ以上の細胞を接触させるステップ；
- (c) 前記1つ以上の細胞により産生されるエキソソームを単離するステップであって、少なくとも1つの単離エキソソームが、前記修飾RNAを含むステップ；並びに
- (d) 有効量の前記単離エキソソームを前記被験者に投与するステップ

10

を含み、

ここで、前記修飾RNAは、前記障害を処置する上で有効であり、前記医薬組成物が前記単離エキソソームを含む、医薬組成物。

【請求項14】

前記細胞が、上皮細胞、免疫細胞、前駆細胞、又は幹細胞であり、所望により前記細胞が、Bリンパ球、Tリンパ球、又は単球である、請求項13に記載の医薬組成物。

【請求項15】

20

エキソソームを単離するステップが、インビトロ細胞培地のサンプルからエキソソームを単離することを含む、請求項13または14に記載の医薬組成物。

【請求項16】

修飾RNAを含む単離エキソソームの製造方法であって、前記製造方法が、以下：

- (a) 修飾RNAを含む1つ以上の脂質ナノ粒子(LNP)を提供するステップ；
- (b) 細胞によるLNP取込みを可能にする条件下で、1つ以上の前記細胞をLNPと接触させるステップ；及び
- (c) 前記1つ以上の細胞により産生されるエキソソームを単離するステップを含み、ここで、前記少なくとも1つの単離エキソソームは、前記修飾RNAを含む、製造方法。

30

40

50