

【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 12 N 5/071(2010.01)

10

A 61 K 35/12(2015.01)

A 61 K 31/7088(2006.01)

A 61 K 48/00(2006.01)

A 61 P 7/06(2006.01)

A 61 P 25/00(2006.01)

A 61 P 29/00(2006.01)

A 61 P 37/02(2006.01)

A 61 K 38/16(2006.01)

C 12 N 5/0781(2010.01)

C 12 N 5/0783(2010.01)

20

C 12 N 5/0786(2010.01)

C 12 N 5/078(2010.01)

C 12 N 15/12(2006.01)

【F I】

C 12 N 5/071 Z N A

A 61 K 35/12

A 61 K 31/7088

A 61 K 48/00

A 61 P 7/06

A 61 P 25/00

30

A 61 P 29/00

A 61 P 37/02

A 61 K 38/16

C 12 N 5/0781

C 12 N 5/0783

C 12 N 5/0786

C 12 N 5/078

C 12 N 15/12

【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LNP取り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むプロセスにより調製される修飾RNA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RNAを含む、単離エキソソーム。

【請求項2】

前記LNP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PEG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、DLin-MC3-DMA及び／又はDLin-DMA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、DSPC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PEG脂質が、PEG-DMP-E又はPEG2000-DMP-Eである、

請求項1に記載のエキソソーム。

【請求項3】

前記LNPが、DLin-MC3-DMA若しくはDLin-DMAであるイオン化脂質、DSPC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PEG-DMP-E若しくはPEG2000-DMP-EであるPEG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LNP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RNA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PEG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RNAヌクレオチドモル比を含み、所望により、イオン化脂質：修飾RNAヌクレオチドモル比が、前記LNPのイオン化脂質：修飾RNAヌクレオチドモル比より低い、

30

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。

40

【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。

【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

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

【請求項 1 2】

前記エキソームが、前記被験者から取得された細胞から単離される、請求項 1 1 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 3】

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 L N P 取込みを可能にする条件下で、修飾 R N A を含む 1 つ以上の脂質ナノ粒子 ( L N P ) 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產生されるエキソームを単離するステップであって、少なくとも 1 つの単離エキソームが、前記修飾 R N A を含むステップ；並びに
- ( d ) 有効量の前記単離エキソームを前記被験者に投与するステップ

を含み、

ここで、前記修飾 R N A 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ームを含む、医薬組成物。

【請求項 1 4】

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 1 3 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 5】

エキ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ームを単離することを含む、請求項 1 3 または 1 4 に記載の医薬組成物。

【請求項 1 6】

修飾 R N A を含む単離エキソームの製造方法であって、前記製造方法が、以下：

- ( a ) 修飾 R N A を含む 1 つ以上の脂質ナノ粒子 ( L N P ) を提供するステップ；
- ( 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產生されるエキ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 つの単離エキソームは、前記修飾 R N A を含む、製造方法。

10

20

30

40

50