

【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 7 月 9 日 (2020.7.9)

【公開番号】特開 2020-40969 (P2020-40969A)

【公開日】令和 2 年 3 月 19 日 (2020.3.19)

【年通号数】公開・登録公報 2020-011

【出願番号】特願 2019-209416 (P2019-209416)

【国際特許分類】

A 6 1 K 35/12 (2015.01)

A 6 1 P 35/02 (2006.01)

A 6 1 K 35/17 (2015.01)

A 6 1 K 35/28 (2015.01)

A 6 1 P 37/06 (2006.01)

A 6 1 P 35/00 (2006.01)

A 6 1 K 45/00 (2006.01)

A 6 1 K 31/395 (2006.01)

A 6 1 K 31/4545 (2006.01)

C 1 2 N 15/57 (2006.01)

C 1 2 N 15/62 (2006.01)

C 1 2 N 5/10 (2006.01)

C 0 7 K 19/00 (2006.01)

C 1 2 N 15/867 (2006.01)

C 1 2 N 15/12 (2006.01)

C 0 7 K 14/705 (2006.01)

C 1 2 N 9/50 (2006.01)

【F I】

A 6 1 K 35/12 Z N A

A 6 1 P 35/02

A 6 1 K 35/17 Z

A 6 1 K 35/28

A 6 1 P 37/06

A 6 1 P 35/00

A 6 1 K 35/17 A

A 6 1 K 45/00

A 6 1 K 31/395

A 6 1 K 31/4545

C 1 2 N 15/57

C 1 2 N 15/62 Z

C 1 2 N 5/10

C 0 7 K 19/00

C 1 2 N 15/867 Z

C 1 2 N 15/12

C 0 7 K 14/705

C 1 2 N 9/50

【手続補正書】

【提出日】令和 2 年 5 月 27 日 (2020.5.27)

【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】

多量体リガンドを含む、処置を必要とする対象の処置のための方法において使用するための組成物であって、該方法は、対象における治療用細胞の生存を制御することを含み、該組成物は、

a) (i) 多量体化領域と、配列番号 9 に対して少なくとも 90 % の配列同一性を有するカスパーゼ - 9 ポリペプチドとを含むキメラポリペプチドをコードする第 1 の核酸、および (ii) キメラ抗原受容体をコードする第 2 の核酸、がトランスフェクトまたは形質導入された治療用細胞を移植するステップ、および

b) その後、該対象に、該カスパーゼ - 9 ポリペプチドを発現する移植された治療用細胞の 80 % 未満を死滅させるために有効な量で該組成物を投与するステップであって、該組成物の投与後に、治療用細胞の治療有効レベルが該対象において活性なままである、ステップ

を含む方法において使用されることを特徴とし、

少なくとも 1×10^6 個の形質導入またはトランスフェクトされた治療用細胞が該対象に移植される、組成物。

【請求項 2】

前記カスパーゼ - 9 ポリペプチドが、配列番号 22 のアミノ酸配列を含む、請求項 1 に記載の組成物。

【請求項 3】

前記カスパーゼ - 9 ポリペプチドを発現する移植された治療用細胞の 70 % 未満が、前記組成物の使用後に死滅する、請求項 1 または 2 に記載の使用のための組成物。

【請求項 4】

前記キメラ抗原受容体が s c F v ドメインを含む、請求項 1 または 2 に記載の使用のための組成物。

【請求項 5】

前記キメラ抗原受容体がキメラ T 細胞受容体である、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 6】

追加用量の前記組成物が使用され、それにより、該追加用量前の該移植された細胞の数と比較して、前記カスパーゼ - 9 ポリペプチドを発現する前記移植された治療用細胞の少なくとも 10 % が死滅する、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 7】

複数回用量の前記組成物が、該複数回用量の間で投薬量レベルを漸増させながら使用され、投薬量レベルの該漸増により、死滅する治療用細胞の数が増加する、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 8】

前記用量が、 0.01 mg/kg の前記多量体リガンドから 1 mg/kg の前記多量体リガンドまで漸増させられる、請求項 7 に記載の使用のための組成物。

【請求項 9】

前記治療用細胞が、造血幹細胞、間葉系幹細胞 (MSC)、形質 (B) 細胞、筋細胞、ナチュラルキラー (NK) 細胞、マクロファージ、腫瘍浸潤リンパ球 (TIL)、および T 細胞からなる群から選択される、請求項 1 ~ 8 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 10】

前記多量体化領域が、AP1903 または AP20187 に結合する FKBP12 バリアント領域である、請求項 1 ~ 9 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 1 1】

前記 F K B P 1 2 バリエーション領域が F K B P 1 2 v 3 6 領域である、請求項 1 0 に記載の使用のための組成物。

【請求項 1 2】

前記リガンドが A P 1 9 0 3 または A P 2 0 1 8 7 である、請求項 1 ~ 1 1 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 1 3】

前記対象がヒト対象である、請求項 1 ~ 1 2 のいずれか一項に記載の使用のための組成物。

【請求項 1 4】

(i) 多量体化領域と、配列番号 2 2 のアミノ酸配列を含むカスパーゼ - 9 ポリペプチドとを含むキメラポリペプチドをコードする核酸、および (i i) キメラ抗原受容体をコードする第 2 の核酸、がトランスフェクトまたは形質導入された治療用細胞を含む、がんの処置のための方法において使用するための組成物であって、該方法は、対象における治療用細胞の生存を制御することを含み、該組成物は、

a) 少なくとも 1×10^6 個の治療用細胞を移植するステップ、および

b) その後、該対象に、該カスパーゼ - 9 ポリペプチドを発現する移植された治療用細胞の 8 0 % 未満を死滅させるために有効な量で多量体リガンドを投与するステップであって、該多量体リガンドの投与後に、治療用細胞の治療有効レベルが該対象において活性化

ままである、ステップ

を含む方法において使用されることを特徴とする、組成物。

【請求項 1 5】

(i) 多量体化領域と、配列番号 2 2 のアミノ酸配列を含むカスパーゼ - 9 ポリペプチドとを含むキメラポリペプチドをコードする核酸、および (i i) キメラ抗原受容体をコードする第 2 の核酸、がトランスフェクトまたは形質導入された治療用細胞を含む、移植片対宿主病の処置のための方法において使用するための組成物であって、該方法は、対象における治療用細胞の生存を制御することを含み、該組成物は、

a) 少なくとも 1×10^6 個の治療用細胞を移植するステップ、および

b) その後、該対象に、該カスパーゼ - 9 ポリペプチドを発現する移植された治療用細胞の 8 0 % 未満を死滅させるために有効な量で多量体リガンドを投与するステップであって、該多量体リガンドの投与後に、治療用細胞の治療有効レベルが該対象において活性化

ままである、ステップ

を含む方法において使用されることを特徴とする、組成物。