

(19)



SUOMI - FINLAND
(FI)

PATENTTI- JA REKISTERIHALLITUS
PATENT- OCH REGISTERSTYRELSEN
FINNISH PATENT AND REGISTRATION OFFICE

(10)

FI/EP4219687 T3

(12)

**EUROOPPAPATENTIN KÄÄNNÖS
ÖVERSÄTTNING AV EUROPEISKT PATENT
TRANSLATION OF EUROPEAN PATENT SPECIFICATION**

(45)

Käännöksen kuulutuspäivä - Kungörelsedag av översättning -
Translation available to the public

31.10.2024

(97)

Eurooppapatentin myöntämispäivä - Meddelandedatum för
det europeiska patentet - Date of grant of European patent

14.08.2024

(51)

Kansainvälinen patenttiluokitus - Internationell patentklassificering -
International patent classification
C12N 5/0781 (2010 . 01)
C12N 5/0783 (2010 . 01)

(96)

Eurooppapatenttihakemus - Europeisk patentansökan -
European patent application

EP23164036.8

(22)

Tekemispäivä - Ingivningsdag - Filing date

23.04.2015

(97)

Patenttihakemuksen julkiseksitulosopäivä - Patentansökans
publiceringsdag - Patent application available to the public

02.08.2023

(30)

Etuoikeus - Prioritet - Priority

23.04.2014 US US201461983415 P

(73)

Haltija - Innehavare - Holder

1• Juno Therapeutics, Inc. , 400 Dexter Ave. N, Suite 1200 , Seattle, WA 98109 , (US)

(72)

Keksijä - Uppfinnare - Inventor

1• RAMSBORG, Chris , Seattle, WA 98109 , (US)

2• BONYHADI, Mark, L , Seattle, WA 98109 , (US)

3• CHAN, Calvin , Seattle, WA 98109 , (US)

4• BEAUCHESNE, Pascal , Seattle, WA 98109 , (US)

(74)

Asiamies - Ombud - Agent

Papula Oy , P.O.Box 981 , 00101 Helsinki , (FI)

(54)

Keksinnön nimitys - Uppfinningens benämning - Title of the invention

**MENETELMIÄ IMMUUNISOLUPOPULAATIOIDEN ERISTÄMISEKSI, VILJELEMISEKSI JA GENEETTISEKSI MUOKKAAMISEKSI ADOPTIIVISTA
TERAPIAA VARTEN**

METHODS FOR ISOLATING, CULTURING, AND GENETICALLY ENGINEERING IMMUNE CELL POPULATIONS FOR ADOPTIVE THERAPY

PATENTTIVAATIMUKSET

1. Koostumus, joka käsittää geneettisesti muokattujen CD4+- ja CD8+-T-solujen annoksen käytettäväksi menetelmässä autoimmuuni- tai tulehdustaudin hoitamiseksi kohteessa, jossa:

(i) CD4+- ja CD8+-T-soluja on suhteessa, joka on välillä 5:1-1:5;

(ii) CD4+- ja CD8+-T-solujen annos on välillä 1×10^6 - 1×10^{11} solua;

(iii) CD4+- ja CD8+-T-solut ovat geneettisesti muokattuja kimeerisellä antigeenireseptorilla (CAR), jossa CAR:

(a) tunnistaa autoimmuuni- tai tulehdustaudin solujen ilmentämän antigeenin, jossa antigeeni on CD19;

(b) käsittää ekstrasellulaarisen antigeenin-tunnistusdomeenin ja intrasellulaarisen signaalintidomeenin, joka käsittää ITAM:n sisältävän sekvenssin ja T-soluja kostimuloivan molekyylin intrasellulaarisen signaalintidomeenin; ja

(iv) CD4+- ja CD8+-T-solut ovat peräisin näytteestä, joka on saatu kohteesta, jolla on autoimmuuni- tai tulehdustauti.

2. Koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa CD4+- ja CD8+-T-soluja on suhteessa, joka on välillä 1:3-3:1.

3. Koostumus käytettäväksi patenttivaatimuksen 1 mukaisesti, jossa CD4+- ja CD8+-T-soluja on suhteessa, joka on välillä 2:1-1:5.

4. Koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-3 mukaisesti, jossa CD4+- ja CD8+-T-solujen annos on välillä 1×10^6 - 1×10^9 solua.

5. Koostumus käytettäväksi jonkin patenttivaatimuksista 1-4 mukaisesti, jossa CD4+- ja CD8+-T-solujen annos on välillä 1×10^6 - 25×10^6 solua.

6. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-5 mukaisesti, jossa CD4+- ja CD8+-T-
solujen annos on 5×10^6 solua.

5 7. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-5 mukaisesti, jossa CD4+- ja CD8+-T-
solujen annos on 10×10^6 solua.

8. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-5 mukaisesti, jossa CD4+- ja CD8+-T-
solujen annos on 20×10^6 solua.

10 9. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-8 mukaisesti, jossa näyte on veri tai
verestä johdettu näyte, valinnaisesti jossa näyte on
valkosolunäyte, afereesinäyte, leukafereesinäyte, ää-
reisveren mononukleaarisolunäyte ja kokoveri.

15 10. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-9 mukaisesti, jossa näyte on johdettu
afereesi- tai laukafereesivalmisteesta.

11. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-10 mukaisesti, jossa autoimmuuni- tai
20 tulehdustauti on valittu ryhmästä, joka koostuu nivel-
tulehduksesta, tyyppin I diabeteksesta, systeemisestä
lupus erythematosusista (SLE), tulehduksellisesta suo-
listotaudista, psoriaasista, sklerodermasta, autoim-
muunista kilpirauhastaudista, Gravesin taudista, Croh-
25 nin taudista, multippeliskleroosista, astmasta ja
siirrännäiseen liittyvästä taudista tai tilasta.

12. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-11 mukaisesti, jossa autoimmuuni- tai
tulehdustauti on SLE.

30 13. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-12 mukaisesti, jossa CAR käsittää yk-
siketjuisen vasta-ainefragmentin (scFV), joka sitoo
CD19:tä.

35 14. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-13 mukaisesti, jossa intrasellulaari-
nen sellulaarinen signaalintidomeeni on johdettu
CD3zeta:sta.

15. Koostumus käytettäväksi jonkin patentti-
vaatimuksista 1-14 mukaisesti, jossa CAR sisältää jon-
kin kostimulatorisen reseptorin signalointodimeenin
ja/tai transmembraaniosuuden, valinnaisesti valittuna
5 CD28:sta, 4-1BB:stä, OX40:stä, DAP10:stä ja ICOS:sta.