

(19)



Deutsches  
Patent- und Markenamt



(10) **DE 201 96 219.8 T1 2021.10.28**

(12)

## Veröffentlichung der Patentansprüche

der europäischen Patentanmeldung mit der  
(97) Veröffentlichungsnummer: **EP 3 858 991**  
in deutscher Übersetzung (Art. II § 2 Abs. 1 IntPatÜG)  
(96) Europäisches Aktenzeichen: **20 19 6219.8**  
(96) Europäischer Anmeldetag: **25.09.2015**  
(97) Veröffentlichungstag  
der europäischen Anmeldung: **04.08.2021**  
(46) Veröffentlichungstag der Patentansprüche  
in deutscher Übersetzung: **28.10.2021**

(51) Int Cl.: **C12N 15/09 (2006.01)**  
**C07K 16/28 (2006.01)**  
**C12N 5/10 (2006.01)**  
**A61P 35/00 (2006.01)**  
**C12N 5/0783 (2010.01)**  
**A61K 35/17 (2015.01)**  
**C07K 14/725 (2006.01)**  
**C07K 14/705 (2006.01)**

(30) Unionspriorität:  
**201462055979 P 26.09.2014 US**

(72) Erfinder:  
**HECZEY, Andras, Houston, TX 77025, US;**  
**GOTTSCHALK, Stephen, M. G., Houston, TX**  
**77030, US; METELITSA, Leonid, S., Sugar Land,**  
**TX 77479, US; DOTTI, Gianpietro, Houston, TX**  
**Texas, US; Li, Wenpeng, Houston, TX 77030-3411,**  
**US**

(71) Anmelder:  
**Baylor College of Medicine, Houston, TX, US**

(74) Vertreter:  
**Grünecker Patent- und Rechtsanwälte PartG mbB, 80802 München, DE**

Die folgenden Angaben sind den vom Anmelder eingereichten Unterlagen entnommen.

(54) Bezeichnung: **Glypican-3-Spezifische Chimäre Antigenrezeptoren für adoptive Immuntherapie**

(57) Hauptanspruch: T-Zellen, die einen chimären Antigen-Rezeptor (CAR) exprimieren, der auf Glypican-3 (GPC3) abzielt, zur Verwendung in einem Verfahren zur Behandlung einer Krankheit, welche mit der Proliferation und/oder Aktivität von GPC3-positiven Zellen in einem Individuum assoziiert ist, wobei das Verfahren den Schritt des Inkontaktbringens der Zellen mit einer therapeutisch wirksamen Menge der T-Zellen umfasst, und wobei der CAR (i) einen scFv-Antikörper, bei dem es nicht um 3E11, 2G9, 4G5, 3D8 oder 2E10 handelt, und (ii) eine kostimulatorische CD28-Domäne umfasst, wobei:  
(a) die T-Zellen ein Polynukleotid beherbergen, welches den CAR kodiert und SEQ ID NO: 19, SEQ ID NO: 33, SEQ ID NO: 12 oder SEQ ID NO: 29, oder eine Kombination davon umfasst; und/oder  
(b) der CAR die Aminosäuresequenz von SEQ ID NO: 18, SEQ ID NO: 32, SEQ ID NO: 10 oder SEQ ID NO: 28, oder eine Kombination davon umfasst; wobei es sich bei der Krankheit um Krebs oder das Simpson-Golabi-Behmel-Syndrom handelt.

**Patentansprüche**

1. T-Zellen, die einen chimären Antigen-Rezeptor (CAR) exprimieren, der auf Glycan-3 (GPC3) abzielt, zur Verwendung in einem Verfahren zur Behandlung einer Krankheit, welche mit der Proliferation und/oder Aktivität von GPC3-positiven Zellen in einem Individuum assoziiert ist, wobei das Verfahren den Schritt des Inkontaktbringens der Zellen mit einer therapeutisch wirksamen Menge der T-Zellen umfasst, und wobei der CAR (i) einen scFv-Antikörper, bei dem es nicht um 3E11, 2G9, 4G5, 3D8 oder 2E10 handelt, und (ii) eine kostimulatorische CD28-Domäne umfasst, wobei:

(a) die T-Zellen ein Polynukleotid beherbergen, welches den CAR kodiert und SEQ ID NO: 19, SEQ ID NO: 33, SEQ ID NO: 12 oder SEQ ID NO: 29, oder eine Kombination davon umfasst; und/oder  
(b) der CAR die Aminosäuresequenz von SEQ ID NO: 18, SEQ ID NO: 32, SEQ ID NO: 10 oder SEQ ID NO: 28, oder eine Kombination davon umfasst; wobei es sich bei der Krankheit um Krebs oder das Simpson-Golabi-Behmel-Syndrom handelt.

2. Die T-Zellen zur Verwendung nach Anspruch 1, wobei die GPC3-positiven Zellen Krebszellen sind und:

(a) es sich bei dem Krebs um Leberkrebs, embryonales Sarkom, rhabdoider Tumor, Wilms-Tumor, Choriokarzinom, oder Dottersack-Tumor handelt; oder  
(b) es sich bei den Krebszellen nicht um hepatozelluläre Karzinomzellen handelt.

3. Die T-Zellen zur Verwendung nach Anspruch 1 oder 2, wobei:

(a) das Inkontaktbringen in vitro durchgeführt wird; oder  
(b) das Inkontaktbringen in einer Zellkultur durchgeführt wird.

4. Die T-Zellen zur Verwendung nach Anspruch 1 oder 2, wobei das Inkontaktbringen in vivo durchgeführt wird.

5. Die T-Zellen zur Verwendung nach Anspruch 4, wobei:

(a) die T-Zellen autolog zu dem Individuum sind; oder  
(b) die T-Zellen für das Individuum allogen sind.

6. Die T-Zellen zur Verwendung nach einem der Ansprüche 1, 3(b), 4 und 5, wobei die GPC3-positiven Zellen Krebszellen sind, ferner wobei das Individuum eine zusätzliche Krebsbehandlung erhalten hat, erhält oder erhalten wird.

7. Die T-Zellen zur Verwendung nach Anspruch 6, wobei die zusätzliche Krebsbehandlung eine Chemotherapie, Immuntherapie, Bestrahlung, Operation, Hormontherapie, oder eine Kombination davon umfasst.

8. Die T-Zellen zur Verwendung nach einem der vorhergehenden Ansprüche, wobei das Polynukleotid weiterhin ein Suizidgen umfasst.

Es folgen keine Zeichnungen