

【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6年10月15日(2024.10.15)

【国際公開番号】WO2022/076562  
 【公表番号】特表2023-544197(P2023-544197A)  
 【公表日】令和5年10月20日(2023.10.20)  
 【年通号数】公開公報(特許)2023-198  
 【出願番号】特願2023-521060(P2023-521060)  
 【国際特許分類】

10

A 6 1 K 48/00(2006.01)  
 A 6 1 K 39/00(2006.01)  
 A 6 1 P 43/00(2006.01)  
 A 6 1 P 37/04(2006.01)  
 A 6 1 K 9/19(2006.01)  
 A 6 1 K 9/51(2006.01)  
 A 6 1 K 47/22(2006.01)  
 A 6 1 K 47/26(2006.01)  
 A 6 1 K 47/12(2006.01)  
 A 6 1 K 47/34(2017.01)  
 A 6 1 K 47/24(2006.01)  
 A 6 1 K 47/28(2006.01)

20

【F I】

A 6 1 K 48/00  
 A 6 1 K 39/00 G  
 A 6 1 P 43/00 1 0 5  
 A 6 1 P 37/04  
 A 6 1 K 9/19  
 A 6 1 K 9/51  
 A 6 1 K 47/22  
 A 6 1 K 47/26  
 A 6 1 K 47/12  
 A 6 1 K 47/34  
 A 6 1 K 47/24  
 A 6 1 K 47/28

30

【手続補正書】

【提出日】令和6年10月4日(2024.10.4)

【手続補正1】

【補正対象書類名】特許請求の範囲

40

【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】

mRNAを封入する1つまたはそれ以上の脂質ナノ粒子を含む安定な凍結乾燥組成物を製造する方法であって：

(a) 当初mRNA完全性を有するmRNAを封入する1つまたはそれ以上の脂質ナノ粒子を含む水溶液へと5mM～200mMの間のアスコルビン酸を添加する工程、

(b) 水溶液を凍結させて凍結溶液を得る工程、

50

(c) 10時間超の時間にわたって凍結溶液を乾燥させて、凍結乾燥組成物を得る工程を含み、

15 ~ 25 の温度での4週間にわたる凍結乾燥組成物の保存後の凍結乾燥組成物の再構成時に、再構成後のmRNA完全性は当初mRNA完全性の少なくとも50%である、方法。

【請求項2】

工程(a)の前に、水溶液からクエン酸を除去する工程を含む、請求項1に記載の方法。

【請求項3】

クエン酸を除去する工程は、pH6 ~ pH8のpHでクエン酸およびEDTAを含む水溶液を洗浄することを含む、請求項2に記載の方法。 10

【請求項4】

水溶液は、1mM ~ 10mMの間のクエン酸緩衝液を含む、請求項3に記載の方法。

【請求項5】

工程(c)の後に、

(d) 15 ~ 30 の間の温度まで凍結乾燥組成物の温度を上昇および保持することを含む、請求項1に記載の方法。

【請求項6】

水溶液は、約10mM ~ 50mMのアスコルビン酸を含む、請求項1に記載の方法。

【請求項7】

当初mRNA完全性は50%超であり、再構成後のmRNA完全性は50%超に留まる、請求項1に記載の方法。 20

【請求項8】

乾燥工程は、約50mTorrの圧力で行われる、請求項1に記載の方法。

【請求項9】

凍結乾燥組成物の温度は、工程(d)において約20 の温度で上昇および保持される、請求項1に記載の方法。

【請求項10】

水溶液はトレハロースを含む、請求項1 ~ 9のいずれか1項に記載の方法。

【請求項11】

mRNAを封入する1つまたはそれ以上の脂質ナノ粒子および5mM ~ 200mMの間のアスコルビン酸を含む安定な凍結乾燥組成物であって、15 ~ 25 の温度での4週間にわたる凍結乾燥組成物の保存後の凍結乾燥組成物の再構成時に、再構成後のmRNAの完全性は当初mRNA完全性の少なくとも50%である、安定な凍結乾燥組成物。 30

【請求項12】

0.1mM未満のシトレートを含む、請求項11に記載の安定な凍結乾燥組成物。

【請求項13】

約10mM ~ 50mMのアスコルビン酸を含む、請求項11に記載の安定な凍結乾燥組成物。 40

【請求項14】

当初mRNA完全性は50%超であり、再構成後のmRNA完全性は50%超である、請求項11に記載の安定な凍結乾燥組成物。

【請求項15】

トレハロースを含む、請求項11 ~ 14のいずれか1項に記載の安定な凍結乾燥組成物。

【請求項16】

7.0未満のpHを有する、請求項11のいずれか1項に記載の安定な凍結乾燥組成物。

【請求項17】

脂質ナノ粒子は、カチオン性脂質、ヘルパー脂質およびPEG修飾脂質を含む、請求項 50

1 1 に記載の安定な凍結乾燥組成物。

【請求項 1 8】

脂質ナノ粒子は、コレステロールをさらに含む、請求項 1 7 に記載の安定な凍結乾燥組成物。

【請求項 1 9】

ヘルパー脂質は D O P E もしくは D E P E であり、かつ / または P E G 修飾脂質は D M G - P E G 2 0 0 0 である、請求項 1 7 または 1 8 に記載の安定な凍結乾燥組成物。

10

20

30

40

50