

【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5年5月24日(2023.5.24)

【国際公開番号】WO2020/237217
 【公表番号】特表2022-534813(P2022-534813A)
 【公表日】令和4年8月3日(2022.8.3)
 【年通号数】公開公報(特許)2022-141
 【出願番号】特願2022-515977(P2022-515977)
 【国際特許分類】

10

C 1 2 N 15/11(2006.01)
 C 1 2 N 15/09(2006.01)
 C 1 2 N 5/10(2006.01)
 C 1 2 N 5/0789(2010.01)
 A 6 1 K 35/28(2015.01)
 A 6 1 P 35/00(2006.01)
 A 6 1 P 35/02(2006.01)
 A 6 1 K 45/00(2006.01)
 A 6 1 K 47/64(2017.01)

【F I】

20

C 1 2 N 15/11 Z Z N A
 C 1 2 N 15/09 1 1 0
 C 1 2 N 5/10
 C 1 2 N 5/0789
 A 6 1 K 35/28
 A 6 1 P 35/00
 A 6 1 P 35/02
 A 6 1 K 45/00
 A 6 1 K 47/64

30

【手続補正書】
 【提出日】令和5年5月16日(2023.5.16)
 【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】

標的化ドメインが配列番号9の配列を含む、標的化ドメインを含むgRNA。

40

【請求項2】

標的化ドメインが配列番号10の配列を含む、標的化ドメインを含むgRNA。

【請求項3】

標的化ドメインが配列番号11の配列を含む、標的化ドメインを含むgRNA。

【請求項4】

標的化ドメインが配列番号12の配列を含む、標的化ドメインを含むgRNA。

【請求項5】

第1の相補性ドメイン、連結ドメイン、第1の相補性ドメインに対して相補的である第2の相補性ドメイン、および近位ドメインを含む、請求項1～4のいずれか1項に記載のgRNA。

50

【請求項 6】

シングルガイドRNA (sgRNA) である、請求項 1 ~ 5 のいずれか 1 項に記載の gRNA。

【請求項 7】

1 つ以上の 2' O - メチルヌクレオチドを含む、請求項 1 ~ 6 のいずれか 1 項に記載の gRNA。

【請求項 8】

1 つ以上のホスホロチオエートまたはチオPACE連結部を含む、請求項 1 ~ 7 のいずれか 1 項に記載の gRNA。

【請求項 9】

(i) 造血幹細胞または前駆細胞を提供することと、
(ii) 細胞に (a) 請求項 1 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の gRNA ; および (b) gRNA に結合する Cas 分子を導入することと、

10

を含み、

それによって、遺伝子操作された細胞を生成する、
遺伝子操作された細胞を生成する方法。

【請求項 10】

Cas 分子が、SpCas9 エンドヌクレアーゼ、SaCas9 エンドヌクレアーゼ、または Cpf1 エンドヌクレアーゼを含む、請求項 9 に記載の方法。

【請求項 11】

(a) および (b) が予め形成されたリボ核蛋白質複合体として細胞に導入される、請求項 9 または 10 に記載の方法。

20

【請求項 12】

リボ核蛋白質複合体がエレクトロポレーションによって細胞に導入される、請求項 11 に記載の方法。

【請求項 13】

請求項 9 ~ 12 のいずれか 1 項に記載の方法によって生成される、遺伝子操作された造血幹細胞または前駆細胞。

【請求項 14】

請求項 13 に記載の複数の遺伝子操作された造血幹細胞または前駆細胞を含む、細胞集団。

30

【請求項 15】

さらに、1 つ以上の操作されていない CD33 遺伝子を含む 1 つ以上の細胞を含む、請求項 14 に記載の細胞集団。

【請求項 16】

野生型カウンターパート細胞集団によって発現される CD33 の 20% 未満を発現する、請求項 14 または 15 に記載の細胞集団。

【請求項 17】

造血幹細胞および造血前駆細胞の両方を含む、請求項 14 ~ 16 のいずれか 1 項に記載の細胞集団。

【請求項 18】

さらに、CD33 以外の系列特異的細胞表面抗原をコードする遺伝子に第 2 の変異を含む、請求項 14 ~ 17 のいずれか 1 項に記載の細胞集団。

40

【請求項 19】

CD33 以外の系列特異的細胞表面抗原をコードする遺伝子が CLL - 1 または CD123 である、請求項 18 に記載の細胞集団。

【請求項 20】

方法における使用のための請求項 13 ~ 19 のいずれか一項に記載の細胞集団であって、方法が、それを必要とする対象に請求項 13 ~ 19 のいずれか 1 項に記載の細胞集団を投与することを含む、前記細胞集団。

【請求項 21】

50

対象が造血悪性物を有する、請求項20に記載の細胞集団。

【請求項22】

方法が、さらに、CD33を標的化する有効量の薬剤を対象に投与することを含み、薬剤がCD33に結合する抗原結合断片を含む、請求項20または21に記載の細胞集団。

10

20

30

40

50