

【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4年10月4日(2022.10.4)

【公開番号】特開2022-130485(P2022-130485A)

【公開日】令和4年9月6日(2022.9.6)

【年通号数】公開公報(特許)2022-164

【出願番号】特願2022-96360(P2022-96360)

【国際特許分類】

C 12N 15/62(2006.01)	10
C 12N 15/11(2006.01)	
C 07K 19/00(2006.01)	
C 12N 5/10(2006.01)	
A 61K 31/138(2006.01)	
A 61K 31/565(2006.01)	
A 61K 35/12(2015.01)	
A 61K 35/17(2015.01)	
A 61K 35/28(2015.01)	
A 61K 45/00(2006.01)	
A 61P 1/04(2006.01)	20
A 61P 1/18(2006.01)	
A 61P 11/00(2006.01)	
A 61P 13/08(2006.01)	
A 61P 13/12(2006.01)	
A 61P 15/00(2006.01)	
A 61P 25/00(2006.01)	
A 61P 31/12(2006.01)	
A 61P 35/00(2006.01)	
A 61P 35/02(2006.01)	
A 61P 43/00(2006.01)	30
C 12N 15/12(2006.01)	
C 07K 14/435(2006.01)	

【F I】

C 12N 15/62	Z Z N A	
C 12N 15/11	Z	
C 07K 19/00		
C 12N 5/10		
A 61K 31/138		
A 61K 31/565		
A 61K 35/12		40
A 61K 35/17	Z	
A 61K 35/28		
A 61K 45/00		
A 61P 1/04		
A 61P 1/18		
A 61P 11/00		
A 61P 13/08		
A 61P 13/12		
A 61P 15/00		
A 61P 25/00		50

A 6 1 P 31/12
A 6 1 P 35/00
A 6 1 P 35/02
A 6 1 P 43/00 121
C 1 2 N 15/12
C 0 7 K 14/435

【手続補正書】**【提出日】**令和4年9月26日(2022.9.26)

10

【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】**

細胞においてポリヌクレオチドの発現を誘導する方法であって、

(a) (i) 薬剤によって誘導可能な第1のプロモーターを含み、前記ポリヌクレオチドに作動可能に連結された第1の核酸、および(ii)前記第1のプロモーターの転写活性化因子であって、配列番号1～11および121のいずれかに示されるアミノ酸配列を含む転写活性化因子をコードする核酸に作動可能に連結された第2のプロモーターを含む第2の核酸を含む細胞を準備すること、
20

(b) 前記細胞に、タモキシフェン、タモキシフェンの代謝産物、タモキシフェンの類似体、タモキシフェンの塩、タモキシフェンの水和物、4-ヒドロキシタモキシフェン、フルベストラント、エストロゲン類似体およびCMP8から選択される前記薬剤を接触させること、ならびに

(c) 前記細胞に、ホルボール-12-ミリスチン酸-13-酢酸(PMA)、イオノマイシンおよびそれらの組み合わせから選択される刺激物質を接触させることを含む、方法。

【請求項2】

30

10nM未満の濃度の前記薬剤によって、前記ポリヌクレオチドの発現が誘導される、請求項1に記載の方法。

【請求項3】

前記転写活性化因子が、配列番号1～3、8～11および121のいずれかに示されるアミノ酸配列を含む、請求項1または2に記載の方法。

【請求項4】

前記転写活性化因子が、配列番号2、3、8～11および121のいずれかに示されるアミノ酸配列含む、請求項1または2に記載の方法。

【請求項5】

前記転写活性化因子が、配列番号121に示されるアミノ酸配列を含む、請求項4に記載の方法。

40

【請求項6】

前記転写活性化因子が、配列番号4～7に示されるアミノ酸配列を含む、請求項1または2に記載の方法。

【請求項7】

前記第1のプロモーターが、配列番号23に示されるヌクレオチド配列を含む、請求項1～6のいずれか1項に記載の方法。

【請求項8】

前記第2のプロモーターが、構成的プロモーターである、請求項1～7のいずれか1項に記載の方法。

50

【請求項 9】

前記第1の核酸が、第1のベクターに含まれ、および／または前記第2の核酸が、第2のベクターに含まれる、請求項1～8のいずれか1項に記載の方法。

【請求項 10】

前記ポリヌクレオチドが、キメラ抗原受容体、サイトカイン、ケモカイン受容体、キメラサイトカイン受容体およびマイクロRNAから選択されるペイロードをコードする、請求項1～9のいずれか1項に記載の方法。

【請求項 11】

さらに(d)前記細胞に、抗CD3抗体、抗CD3抗体の抗原結合断片、抗CD28抗体および抗CD28抗体の抗原結合断片から選択される活性化刺激物質を接触させることを含む、請求項1～10のいずれか1項に記載の方法。10

【請求項 12】

前記細胞が、T細胞、T細胞前駆細胞および造血幹細胞から選択される、請求項1～11のいずれか1項に記載の方法。

【請求項 13】

前記細胞が、ナイーブCD8+T細胞、セントラルメモリーCD8+T細胞、エフェクターメモリーCD8+T細胞およびバルクCD8+T細胞からなる群から選択される細胞傷害性CD8+Tリンパ球、またはナイーブCD4+T細胞、セントラルメモリーCD4+T細胞、エフェクターメモリーCD4+T細胞およびバルクCD4+T細胞からなる群から選択されるヘルパーCD4+Tリンパ球である、請求項12に記載の方法。20

【請求項 14】

エクスピボで実施される、請求項1～13のいずれか1項に記載の方法。

【請求項 15】

インビボにおいて治療用ポリヌクレオチドの発現を誘導可能に使用するためのシステムであって、

(a)(i)薬剤によって誘導可能な第1のプロモーターを含み、前記治療用ポリヌクレオチドに作動可能に連結された第1の核酸、および(ii)前記第1のプロモーターの転写活性化因子であって、配列番号1～11および121のいずれかに示されるアミノ酸配列を含む転写活性化因子をコードする核酸に作動可能に連結された第2のプロモーターを含む第2の核酸を含む細胞。30

(b)タモキシフェン、タモキシフェンの代謝産物、タモキシフェンの類似体、タモキシフェンの塩、タモキシフェンの水和物、4-ヒドロキシタモキシフェン、フルベストラント、エストロゲン類似体およびCMP8から選択される薬剤、ならびに

(c)ホルボール-12-ミリスチン酸-13-酢酸(PMA)、イオノマイシンおよびそれらの組み合わせから選択される刺激物質を含む、システム。

【請求項 16】

前記治療用ポリヌクレオチドが、サイトカイン、キメラ抗原受容体、ケモカイン受容体、キメラケモカイン受容体、アポトーシスを制御するポリペプチド、細胞外環境を調節するポリペプチド、チェックポイントシグナル伝達を調節するポリペプチドまたはマイクロRNAをコードする、請求項15に記載のシステム。

【請求項 17】

前記薬剤および刺激物質が、前記細胞を含む対象に投与される、請求項15または16に記載のシステム。

【請求項 18】

前記細胞が、T細胞、T細胞前駆細胞および造血幹細胞から選択される、請求項15～17のいずれか1項に記載のシステム。

【請求項 19】

前記細胞が、ナイーブCD8+T細胞、セントラルメモリーCD8+T細胞、エフェクターメモリーCD8+T細胞およびバルクCD8+T細胞からなる群から選択される細胞傷害性CD8+Tリンパ球、またはナイーブCD4+T細胞、セントラルメモリーCD4+T細胞、エフェ

クターメモリ－CD4+T細胞およびバルクCD4+T細胞からなる群から選択されるヘルパーCD4+Tリンパ球である、請求項1～8に記載のシステム。

【請求項20】

前記細胞が、ヒト細胞である、請求項1～9のいずれか1項に記載のシステム。

10

20

30

40

50