

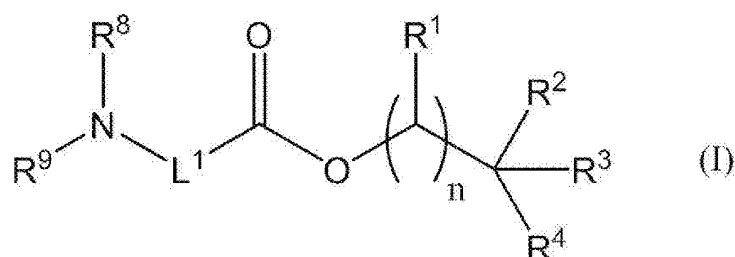
請求の範囲

[請求項1] 以下の (a) ~ (c) を含む脂質ナノ粒子：

- (a) キメラ抗原受容体または外因性 T 細胞受容体をコードする核酸；
- (b) カチオン性脂質；及び
- (c) 非カチオン性脂質。

[請求項2] 前記カチオン性脂質が、

式 (I)：



[式中、

L^1 は、 C_{1-22} アルキレン基、 C_{2-22} アルケニレン基または C_{3-22} アルカジエニレン基であり、

n は、0 または 1 の整数であり、

R^1 は、

水素原子、

直鎖状の C_{1-22} アルキル基および直鎖状の C_{2-22} アルケニル基から選ばれる 1 つまたは 2 つの置換基で置換されていてもよい直鎖状の C_{1-22} アルキル基、

直鎖状の C_{1-22} アルキル基および直鎖状の C_{2-22} アルケニル基から選ばれる 1 つまたは 2 つの置換基で置換されていてもよい直鎖状の C_{2-22} アルケニル基、または

直鎖状の C_{1-22} アルキル基および直鎖状の C_{2-22} アルケニル基から選ばれる 1 つまたは 2 つの置換基で置換されていてもよい直鎖状の C_{3-22} アルカジエニル基であり、

R^2 は、 $-CH_2-O-CO-R^5$ 、 $-CH_2-CO-O-R^5$ または $-R^5$ であり、

R^3 は、 $-CH_2-O-CO-R^6$ 、 $-CH_2-CO-O-R^6$ または $-R^6$ であり、

R^4 は、水素原子、 $-CH_2-O-CO-R^7$ 、 $-CH_2-CO-O-R^7$ または $-R^7$ であり、

R^5 、 R^6 および R^7 は、それぞれ独立して、

(1) 直鎖状の C_{1-22} アルキル基および直鎖状の C_{2-22} アルケニル基から選ばれる1つまたは2つの置換基で置換されていてもよい直鎖状の C_{1-22} アルキル基、

(2) 直鎖状の C_{1-22} アルキル基および直鎖状の C_{2-22} アルケニル基から選ばれる1つまたは2つの置換基で置換されていてもよい直鎖状の C_{2-22} アルケニル基、または

(3) 直鎖状の C_{1-22} アルキル基および直鎖状の C_{2-22} アルケニル基から選ばれる1つまたは2つの置換基で置換されていてもよい直鎖状の C_{3-22} アルカジェニル基であり、

R_8 および R_9 は、それぞれ独立して、 C_{1-6} アルキル基を示す]

で表される化合物またはその塩である、請求項1に記載の脂質ナノ粒子。

[請求項3] 前記核酸がmRNA又はDNAである、請求項1に記載の脂質ナノ粒子。

[請求項4] 前記非カチオン性脂質が、リン脂質、コレステロール及び/又はPEG脂質である、請求項1に記載の脂質ナノ粒子。

[請求項5] 前記脂質ナノ粒子がT細胞へ標的化し得るリガンドを表面に有する、請求項1に記載の脂質ナノ粒子。

[請求項6] 前記リガンドが、CD3に対する抗体、CD4に対する抗体、CD8に対する抗体およびCD28に対する抗体からなる群より選択される1以上の抗体の抗原結合ドメインを含むリガンドである、請求項5

に記載の脂質ナノ粒子。

- [請求項7] 前記リガンドが、CD3に対する抗体及び／又はCD28に対する抗体の抗原結合ドメインを含むリガンドである、請求項5に記載の脂質ナノ粒子。
- [請求項8] 前記リガンドが、CD3に対する抗体及びCD28に対する抗体の抗原結合ドメインを含むリガンドである、請求項5に記載の脂質ナノ粒子。
- [請求項9] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子を含有してなる医薬。
- [請求項10] 癌の予防又は治療薬である、請求項9に記載の医薬。
- [請求項11] *in vivo*免疫細胞にキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を遺伝子導入し、その発現を誘導する、請求項9に記載の医薬。
- [請求項12] *in vivo* T細胞にキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を遺伝子導入し、その発現を誘導する、請求項9に記載の医薬。
- [請求項13] 哺乳動物に対し、請求項1に記載の脂質ナノ粒子を投与することを特徴とする、該哺乳動物の*in vivo*免疫細胞にキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を遺伝子導入し、発現させる方法。
- [請求項14] 哺乳動物に対し、請求項1に記載の脂質ナノ粒子を投与することを特徴とする、該哺乳動物における*in vivo* T細胞にキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を遺伝子導入し、発現させる方法。
- [請求項15] 哺乳動物に対し、請求項1に記載の脂質ナノ粒子を投与することを特徴とする、該哺乳動物における癌の予防又は治療方法。
- [請求項16] 癌の予防・治療に使用するための、請求項1に記載の脂質ナノ粒子。
- [請求項17] 癌の予防・治療剤を製造するための、請求項1に記載の脂質ナノ粒子の使用。
- [請求項18] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子を含有してなるキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体発現誘導用組成物。
- [請求項19] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子を*ex vivo* 免疫細胞を含む培養液に添

加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo 免疫細胞。

[請求項20] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo T細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo T細胞。

[請求項21] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo 免疫細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo 免疫細胞、を含有してなる医薬。

[請求項22] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo T細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo T細胞、を含有してなる医薬。

[請求項23] 癌の予防又は治療薬である、請求項21に記載の医薬。

[請求項24] アポトーシス誘導薬である、請求項21に記載の医薬。

[請求項25] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo 免疫細胞を含む培養液に添加することを特徴とする、ex vivo 免疫細胞にキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を遺伝子導入し、発現させる方法。

[請求項26] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo T細胞を含む培養液に添加することを特徴とする、ex vivo T細胞にキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現させる方法。

[請求項27] 哺乳動物に対し、請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo 免疫細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo 免疫細胞を投与することを特徴とする、癌の予防又は治療方法。

[請求項28] 哺乳動物に対し、請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo T細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo T細胞を投与することを特徴とする、癌の予防又は治療方法。

[請求項29] 癌の予防・治療に使用するための、請求項1に記載の脂質ナノ粒子

をex vivo 免疫細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo 免疫細胞。

[請求項30] 癌の予防・治療に使用するための、請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo T細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo T細胞。

[請求項31] 癌の予防・治療剤を製造するための、請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo 免疫細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo 免疫細胞の使用。

[請求項32] 癌の予防・治療剤を製造するための、請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo T細胞を含む培養液に添加して得られたキメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo T細胞の使用。

[請求項33] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo 免疫細胞を含む培養液に添加する工程を含む、キメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo 免疫細胞を含有してなる医薬の製造方法。

[請求項34] 請求項1に記載の脂質ナノ粒子をex vivo T細胞を含む培養液に添加する工程を含む、キメラ抗原受容体または外因性T細胞受容体を発現するex vivo T細胞を含有してなる医薬の製造方法。