

(12) 按照专利合作条约所公布的国际申请

(19) 世界知识产权组织
国际局



(10) 国际公布号
WO 2025/002208 A1

(43) 国际公布日
2025 年 1 月 2 日 (02.01.2025)

(51) 国际专利分类号:

C07H 15/04 (2006.01) *A61K 31/713* (2006.01)
C07H 21/02 (2006.01) *A61K 47/54* (2017.01)
C07H 1/00 (2006.01) *A61P 1/16* (2006.01)

Zhiwei; 中国江苏省苏州市苏州工业园区新泽路1号生物医药产业园三期A区1号楼301单元, Jiangsu 215000 (CN)。刘楠(**LIU, Nan**); 中国江苏省苏州市苏州工业园区新泽路1号生物医药产业园三期A区1号楼301单元, Jiangsu 215000 (CN)。

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/101798

(22) 国际申请日: 2024 年 6 月 27 日 (27.06.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202310797263.9 2023年6月30日 (30.06.2023) CN

(71) 申请人: 苏州时安生物技术有限公司 (**SUZHOU SIRAN BIOTECHNOLOGY CO., LTD.**) [CN/CN]; 中国江苏省苏州市苏州工业园区新泽路1号生物医药产业园三期A区1号楼301单元, Jiangsu 215000 (CN)。

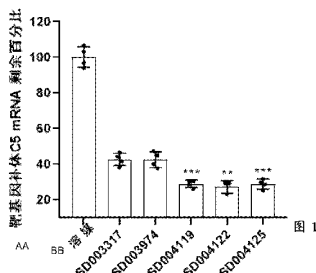
(72) 发明人: 朱研(**ZHU, Yan**); 中国江苏省苏州市苏州工业园区新泽路1号生物医药产业园三期A区1号楼301单元, Jiangsu 215000 (CN)。杨志伟(**YANG,**

(74) 代理人: 苏州创元专利商标事务所有限公司 (**SUZHOU CREATOR PATENT & TRADEMARK AGENCY, LTD.**); 中国江苏省苏州市干将西路93号, Jiangsu 215002 (CN)。

(81) 指定国(除另有指明, 要求每一种可提供的国家保护): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CV, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IQ, IR, IS, IT, JM, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, MG, MK, MN, MU, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW。

(54) **Title:** NUCLEIC ACID CONJUGATES AS WELL AS PREPARATION METHOD THEREFOR AND USE THEREOF

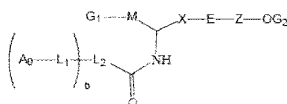
(54) 发明名称: 一种核酸缀合物、制备方法及其用途



AA BB Residual percentage of mRNA of target gene complement C5 Solvent

(57) **Abstract:** Provided in the present invention are compounds for forming conjugates with oligonucleotides, the compounds having structures shown as formula (I). Further provided in the present disclosure are corresponding conjugates, and the use of the conjugates in the preparation of drugs for preventing and/or treating related diseases. The conjugates disclosed by the present disclosure have the advantages of cheap raw materials, simple synthesis, easy process development and the like, and have good oligonucleotide synthesis efficiency and biological activity in small animals.

(57) 摘要: 本发明提供一种用于与寡核苷酸形成缀合物的化合物, 该化合物具有如式(I)所示的结构。本公开还提供了相应的缀合物, 以及所述缀合物在制备用于预防和/或治疗相关疾病的药物中的用途。本公开的缀合物有原料便宜、合成简单、工艺易于开发等优点, 同时有着良好的寡核苷酸合成效率及小动物体内生物活性。



(I)

[见续页]

(84) 指定国(除另有指明, 要求每一种可提供的地区保护): ARIPO (BW, CV, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SC, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), 欧亚 (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), 欧洲 (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, ME, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG)。

本国际公布:

— 包括国际检索报告(条约第21条(3))。