

(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

(43) 国际公布日
2023 年 7 月 13 日 (13.07.2023)



(10) 国际公布号
WO 2023/130911 A1

- (51) 国际专利分类号:
C12N 15/867 (2006.01) *A61K 38/42* (2006.01)
C12N 15/12 (2006.01) *A61K 48/00* (2006.01)
C12N 15/55 (2006.01) *A61P 7/06* (2006.01)
- (21) 国际申请号: PCT/CN2022/138330
- (22) 国际申请日: 2022 年 12 月 12 日 (12.12.2022)
- (25) 申请语言: 中文
- (26) 公布语言: 中文
- (30) 优先权:
202210013838.9 2022年1月6日 (06.01.2022) CN
- (71) 申请人: 上海本导基因技术有限公司(SHANGHAI BDGENE TECHNOLOGY CO., LTD.) [CN/CN]; 中国上海市都会路 1699 号 17 幢 B 单元 301、302、303、304 室, Shanghai 201100 (CN)。
- (72) 发明人: 汪啸渊(WANG, Xiaoyuan); 中国上海市都会路 1699 号 17 幢 B 单元 301、302、303、304 室, Shanghai 201100 (CN)。 凌思凯(LING, Sikai); 中国上海市都会路 1699 号 17 幢 B 单元 301、302、303、304 室, Shanghai 201100 (CN)。
- (74) 代理人: 上海段和段律师事务所(DUAN&DUAN LAW FIRM); 中国上海市浦东新区金科路 2966 号 2 幢 406 室, Shanghai 200336 (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, 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。
- (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, 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))。
- 包括说明书序列表部分(细则 5.2(a))。

(54) Title: LENTIVIRAL VECTOR APPLICABLE TO GENE THERAPY OF THALASSEMIA AND SICKLE ANEMIA

(54) 发明名称: 一种适用地中海贫血症和镰刀形贫血基因治疗的慢病毒载体

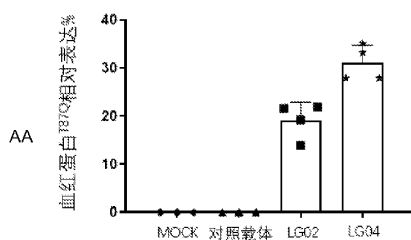


图 2

AA HemoglobinT87Q relative expression %
BB Control vector

(57) Abstract: Disclosed in the present invention is a lentiviral vector applicable to gene therapy of thalassemia and sickle anemia, comprising: a, a micro locus control region, which is a micro regulatory element that is screened from a locus control region of beta globin 16kb and does not contain an HS1 region; b, a gene sequence of beta globin, wherein the gene sequence is as shown in SEQ ID NO. 3; c, a flanking promoter sequence of at the upstream of the gene sequence of beta globin; d, a flanking sequence at the downstream of the gene sequence of beta globin; and e, an insulator sequence from a Foamy virus.

(57) 摘要: 本发明公开了一种适用地中海贫血症和镰刀形贫血基因治疗的慢病毒载体; 包含: a、微基因座控制区, 为一段从 beta 珠蛋白 16kb 的基因座控制区中筛选出来的不含 HS1 区的微型调控元件; b、beta 珠蛋白的基因序列, 该基因序列如 SEQ ID NO.3 所示; c、beta 珠蛋白的基因序列上游侧翼的启动子序列; d、beta 珠蛋白的基因序列下游的侧翼序列; e、来自泡沫病毒(Foamy virus)的绝缘子序列。

WO 2023/130911 A1