

(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 2025/077949 A1

(43) 国际公布日
2025 年 4 月 17 日 (17.04.2025)

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/113 (2010.01) *A61P 9/12* (2006.01)
A61K 31/713 (2006.01) *A61P 9/00* (2006.01)
A61K 38/46 (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/144646

(22) 国际申请日: 2024 年 12 月 31 日 (31.12.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:

202311463375.7 2023 年 11 月 6 日 (06.11.2023) CN
202410909405.0 2024 年 7 月 8 日 (08.07.2024) CN
202411357089.7 2024 年 9 月 26 日 (26.09.2024) CN

(71) 申请人: 杭州天龙药业有限公司
(HANGZHOU TIANLONG PHARMACEUTICAL
CO., LTD.) [CN/CN]; 中国浙江省杭州市上城区
笕丁路430号 310009 (CN)。

(72) 发明人: 杨硕(YANG, Shuo); 中国浙江省杭州市上
城区笕丁路430号 310009 (CN)。 黄泽傲(HUANG,
Zeao); 中国浙江省杭州市上城区笕丁路 430 号

310009 (CN)。 宋更申(SONG, Gengshen); 中国浙
江省杭州市上城区笕丁路430号 310009 (CN)。 郭
磊(GUO, Lei); 中国浙江省杭州市上城区笕丁路430
号 310009 (CN)。 崔义文(CUI, Yiwen); 中国浙江
省杭州市上城区笕丁路430号 310009 (CN)。

(74) 代理人: 上海弼兴律师事务所 (SHANGHAI
BESHINING LAW OFFICE); 中国上海市徐汇
区小木桥路 681 号外经大厦 29 楼 02 室薛
琦、王卫彬 200032 (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: MODIFICATION TEMPLATE FOR IMPROVING INHIBITORY EFFECT OF DOUBLE-STRANDED OLIGONUCLEOTIDE ON TARGET GENE, COMBINATION THEREOF AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 提升双链寡核苷酸靶基因抑制效果的修饰模板及其组合与应用

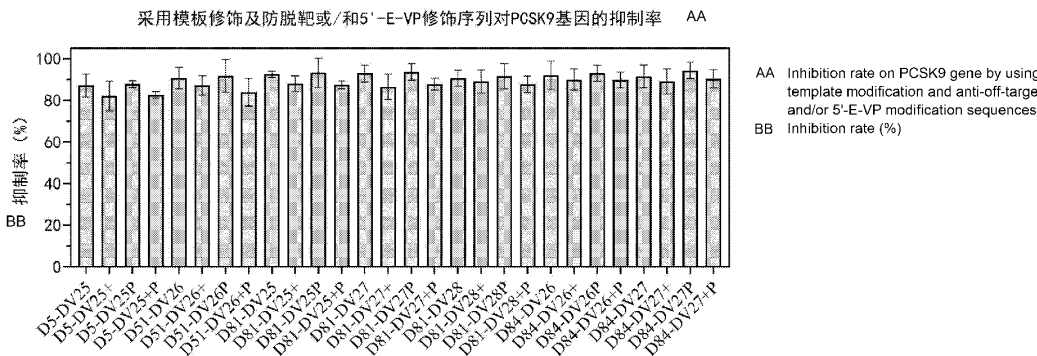


图 8

(57) Abstract: A modification template for improving the inhibitory effect of a double-stranded oligonucleotide on a target gene, a combination thereof and the use thereof. The double-stranded oligonucleotide is an siRNA and contains a sense strand and an antisense strand, and each nucleotide of the sense strand and antisense strand is a modified nucleotide. The double-stranded oligonucleotide is modified with a special modification template, and has a significantly improved inhibition rate on a target gene compared with a basic sequence.

(57) 摘要: 提升双链寡核苷酸靶基因抑制效果的修饰模板及其组合与应用, 所述双链寡核苷酸是 siRNA, 含有正义链和反义链, 所述正义链和反义链的每一个核苷酸均为修饰的核苷酸。该双链寡核苷酸经特殊修饰模板修饰, 相对于基础序列, 对靶基因的抑制率显著提高。

[见续页]

WO 2025/077949 A1

(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)。

根据细则4.17的声明:

- 关于申请人有权要求在先申请的优先权(细则4.17(iii))
- 发明人资格(细则4.17(iv))

本国际公布:

- 包括国际检索报告(条约第21条(3))。
- 在修改权利要求的期限届满之前进行, 在收到该修改后将重新公布(细则48.2(b))。
- 根据申请人的请求, 在条约第21条(2)(a)所规定的期限届满之前进行。
- 包括关于请求恢复一项或多项优先权要求的信息(细则26之二.3和48.2(b)(vii))。
- 包括说明书序列表部分(细则5.2(a))。