

(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 2 月 9 日 (09.02.2023)



(10) 国际公布号
WO 2023/011632 A1

(51) 国际专利分类号:
C12N 15/11 (2006.01) *A61K 48/00* (2006.01)
C12N 15/864 (2006.01) *A61P 27/02* (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2022/110545

(22) 国际申请日: 2022 年 8 月 5 日 (05.08.2022)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202110899561.X 2021年8月6日 (06.08.2021) CN

(71) 申请人: 武汉纽福斯生物科技有限公司 (WUHAN NEUROPHTH BIOTECHNOLOGY LIMITED COMPANY) [CN/CN]; 中国湖北省武汉市高新大道 666 号 B1 栋 C270-271, Hubei 430060 (CN)。

(72) 发明人: 李斌(LI, Bin); 中国湖北省武汉市高新大道 666 号 B1 栋 C270-271, Hubei 430060 (CN)。

(74) 代理人: 成都七星天知识产权代理有限公司 (METIS IP (CHENGDU) LLC); 中国四川省成都市中国 (四川) 自由贸易试验区天府新区湖畔路北段 269 号 1 栋 1 单元 4 层 401 号, Sichuan 610213 (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, ME, 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, 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, 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: COMPOSITION AND METHOD FOR TREATING LEBER'S HEREDITARY OPTIC NEUROPATHY CAUSED BY ND4 MUTATION

(54) 发明名称: 用于治疗由于 ND4 突变造成的莱伯氏遗传性视神经病变的组合物和方法



图 7

(57) Abstract: Provided is a recombinant nucleic acid, comprising: a mitochondrial targeting sequence, a mitochondrial protein coding sequence, a 3'UTR nucleic acid sequence, and a polyadenylate tail sequence, wherein the mitochondrial protein coding sequence encodes a polypeptide comprising a mitochondrial protein. Further provided are a pharmaceutical composition comprising the recombinant nucleic acid and a method for treating Leber's hereditary optic neuropathy (LHON) by using the pharmaceutical composition.

(57) 摘要: 提供了一种重组核酸, 其包含: 线粒体靶向序列、线粒体蛋白编码序列、3'UTR 核酸序列和聚腺苷酸尾序列, 其中该线粒体蛋白编码序列编码包含线粒体蛋白的多肽。还提供了包含该重组核酸的药物组合物以及使用该药物组合物治疗莱伯氏遗传性视神经病变(LHON)的方法。

WO 2023/011632 A1