

(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 2022/247917 A1

(43) 国际公布日
2022 年 12 月 1 日 (01.12.2022)

(51) 国际专利分类号:

C07K 14/005 (2006.01) *C12N 7/00* (2006.01)
A61K 38/17 (2006.01) *A61P 27/02* (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2022/095422

(22) 国际申请日: 2022 年 5 月 27 日 (27.05.2022)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:

202110594986.X 2021 年 5 月 28 日 (28.05.2021) CN

(71) 申请人: 上海瑞宏迪医药有限公司 (SHANGHAI REGENEAL THERAPIE CO., LTD) [CN/CN]; 中国上海市浦东新区自由贸易试验区新金桥路 27 号 13 号楼 2 楼, Shanghai 201206 (CN)。

(72) 发明人: 张文涛 (ZHANG, Wentao); 中国江苏省连云港市经济技术开发区昆仑山路 7 号, Jiangsu 222047 (CN)。 廖成 (LIAO, Cheng); 中国上海市浦东新区张江镇海科路 1288 号, Shanghai 201210 (CN)。 宁威 (NING, Wei); 中国江苏省连云港市经济技术开发区昆仑山路 7 号, Jiangsu 222047 (CN)。

(74) 代理人: 北京戈程知识产权代理有限公司 (GE CHENG & CO., LTD); 中国北京市东城区东长安街 1 号东方广场东三办公楼 10 层程伟 (David W. Cheng), Beijing 100738 (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, 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: RECOMBINANT ADENO-ASSOCIATED VIRUS HAVING VARIANT CAPSID, AND APPLICATION THEREOF

(54) 发明名称: 衣壳变异的重组腺相关病毒及其应用

(57) Abstract: Provided are a recombinant adeno-associated virus (rAAV) having a variant capsid, and an application thereof. Specifically, provided are a variant AAV capsid protein, an rAAV viral particle comprising the variant AAV capsid protein, and an application thereof in delivering a gene product to a cell (e.g., a retinal cell).

(57) 摘要: 提供了衣壳变异的重组腺相关病毒及其应用。具体地, 提供了变体腺相关病毒 (AAV) 衣壳蛋白, 包含所述变体 AAV 衣壳蛋白的重组腺相关病毒 (rAAV) 病毒粒子及其靶向细胞 (例如, 视网膜细胞) 递送基因产物的应用。

WO 2022/247917 A1