

(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 2024/041653 A1

(43) 国际公布日
2024 年 2 月 29 日 (29.02.2024)

(51) 国际专利分类号:
C12N 9/22 (2006.01) *C12N 15/55* (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2023/115093

(22) 国际申请日: 2023 年 8 月 25 日 (25.08.2023)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202211035342.8 2022 年 8 月 26 日 (26.08.2022) CN
202310457880.4 2023 年 4 月 24 日 (24.04.2023) CN

(71) 申请人: 广州瑞风生物科技有限公司(GUANGZHOU REFORGENE MEDICINE CO., LTD.) [CN/CN]; 中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (CN)。浙江迅识生物科技有限公司(ZHEJIANG SYNSORBIO TECHNOLOGY CO., LTD) [CN/CN]; 中国浙江省绍兴市滨海新区海天道 21 号 1 号楼 211 室-3, Zhejiang 312300 (CN)。

(72) 发明人: 梁峻彬(LIANG, Junbin); 中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (CN)。梁兴祥(LIANG, Xingxiang); 中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (CN)。孙阳(SUN, Yang); 中国浙江省绍兴市滨海新区海天道 21 号 1 号楼 211 室-3, Zhejiang 312300 (CN)。徐辉(XU, Hui);

中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (CN)。司凯威(SI, Kaiwei); 中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (CN)。李秋婷(LI, Qiuting); 中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (CN)。彭志琴(PENG, Zhiqin); 中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (CN)。皇甫德胜(HUANGFU, Desheng); 中国广东省广州市黄埔区瑞和路 39 号 H6 栋 131-150、H6 栋 231-250、H7 栋 101-120、H7 栋 201-220, Guangdong 510535 (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 21 楼, Shanghai 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,

(54) Title: CRISPR-CAS13 SYSTEM AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 一种CRISPR-Cas13系统及其应用

(57) Abstract: The present invention relates to a CRISPR-Cas13 system and use thereof, and also relates to a Cas13 protein, a fusion protein, and a guide polynucleotide. The Cas13 protein has at least 90% sequence identity compared to SEQ ID NO: 1. The fusion protein comprises the Cas13 protein fused to a protein domain and/or a polypeptide tag. The guide polynucleotide comprises a same-direction repetition sequence and a guide sequence that has been engineered to hybridize with the target RNA. The same-direction repetition sequence has at least 70% sequence identity to any of SEQ ID NOs: 3 and 80-87. The CRISPR-Cas13 system comprises the Cas13 protein that has at least 90% sequence identity to SEQ ID NO: 1, or a coding nucleic acid therefor, and the guide polynucleotide or a coding nucleic acid therefor.

(57) 摘要: 涉及一种CRISPR-Cas13系统及其应用, 还涉及一种Cas13蛋白、融合蛋白和指导多核苷酸。所述Cas13蛋白具有与SEQ ID NO:1相比至少90%的序列同一性。所述融合蛋白包含融合至蛋白结构域和/或多肽标签的所述Cas13蛋白。所述指导多核苷酸包含同向重复序列和工程化以与靶RNA杂交的指导序列, 所述同向重复序列与SEQ ID NO:3、80-87中任一项目具有至少70%的序列同一性。所述CRISPR-Cas13系统包含与SEQ ID NO:1相比具有至少90%序列同一性的Cas13蛋白或其编码核酸, 以及指导多核苷酸或其编码核酸。

[见续页]

WO 2024/041653 A1

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, 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:

- 关于申请人有权申请并被授予专利(细则4.17(ii))
- 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))。
- 包括说明书序列表部分(细则5.2(a))。