

(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 2024/245144 A1

(43) 国际公布日
2024 年 12 月 5 日 (05.12.2024)

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/113 (2010.01) *A61P 7/00* (2006.01)
A61K 31/713 (2006.01) *A61P 9/00* (2006.01)
A61P 35/00 (2006.01) *A61P 13/12* (2006.01)
A61P 25/00 (2006.01) *A61P 27/02* (2006.01)
A61P 37/00 (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/095250

(22) 国际申请日: 2024 年 5 月 24 日 (24.05.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202310603955.5 2023 年 5 月 26 日 (26.05.2023) CN

(71) 申请人: 石药集团中奇制药技术(石家庄)有限公司 (CSPC ZHONGQI PHARMACEUTICAL TECHNOLOGY (SHIJIAZHUANG) CO., LTD.) [CN/CN]; 中国河北省石家庄市高新区中山东路 896 号, Hebei 050035 (CN)。

(72) 发明人: 张雪艳 (ZHANG, Xueyan); 中国河北省石家庄市高新区中山东路 896 号, Hebei 050035 (CN)。王凌宇 (WANG, Lingyu); 中国河北省石家庄市高

新区中山东路 896 号, Hebei 050035 (CN)。苏晓晔 (SU, Xiaoye); 中国河北省石家庄市高新区中山东路 896 号, Hebei 050035 (CN)。石延君 (SHI, Yanjun); 中国河北省石家庄市高新区中山东路 896 号, Hebei 050035 (CN)。邵昱 (SHAO, Yu); 中国河北省石家庄市高新区中山东路 896 号, Hebei 050035 (CN)。陈慧瑜 (CHEN, Huiyu); 中国河北省石家庄市高新区中山东路 896 号, Hebei 050035 (CN)。

(74) 代理人: 北京知元同创知识产权代理事务所(普通合伙) (BEIJING ORIGINTELLIGENCE IP LAW FIRM); 中国北京市海淀区上地东路 35 号院 1 号楼 4 层 3-509, Beijing 100085 (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: DSRNA MOLECULE FOR INHIBITING C5 GENE EXPRESSION, AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 一种抑制 C5 基因表达的 dsRNA 分子及其应用

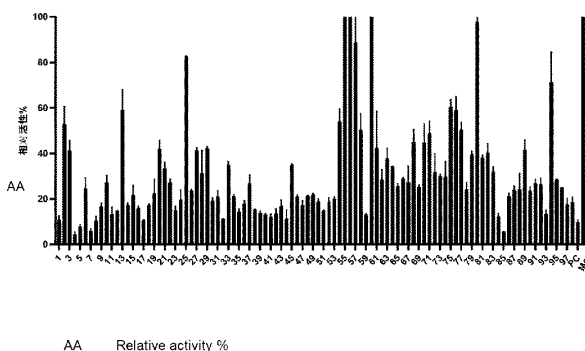


图 1

(57) Abstract: Provided are a modified dsRNA molecule and a use thereof. Specifically provided is a dsRNA molecule for inhibiting C5 gene expression, comprising a sense strand and an antisense strand which are complementary to each other to form a double-stranded region, wherein the sense strand and/or the antisense strand comprise(s) 15 to 25 nucleotides or consist(s) of 15 to 25 nucleotides. The dsRNA molecule can be used for treating and/or preventing C5 gene-mediated diseases.

(57) 摘要: 提供了一种修饰的 dsRNA 分子及其应用, 具体提供了一种抑制 C5 基因表达的 dsRNA 分子, 包括互补形成双链区的正义链和反义链, 正义链和/或反义链包括 15-25 个核苷酸或由 15-25 个核苷酸组成, 该 dsRNA 分子可用于治疗和/或预防 C5 基因介导的疾病。

[见续页]



WO 2024/245144 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)。

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))。