

(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 2023/125481 A1

(43) 国际公布日
2023 年 7 月 6 日 (06.07.2023)

(51) 国际专利分类号:

C07K 14/015 (2006.01) *A61K 38/00* (2006.01)
C12N 7/00 (2006.01) *A61K 35/76* (2015.01)
C12N 15/35 (2006.01) *A61P 27/02* (2006.01)
C12N 15/864 (2006.01) *A61P 19/02* (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)

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,
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。

(21) 国际申请号: PCT/CN2022/142185

(22) 国际申请日: 2022 年 12 月 27 日 (27.12.2022)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202111628667.2 2021 年 12 月 28 日 (28.12.2021) CN

(71) 申请人: 成都弘基生物科技有限公司(CHENGDU
ORIGEN BIOTECHNOLOGY CO., LTD.) [CN/CN];
中国四川省成都市金牛区蜀西路 108
号, Sichuan 610036 (CN)。

(72) 发明人: 柯潇(KE, Xiao); 中国四川省成都市金
牛区蜀西路 108 号, Sichuan 610036 (CN)。 郑
强(ZHENG, Qiang); 中国四川省成都市金牛
区蜀西路 108 号, Sichuan 610036 (CN)。 罗爽
(LUO, Shuang); 中国四川省成都市金牛区蜀
西路 108 号, Sichuan 610036 (CN)。 蒋浩(JIANG,
Hao); 中国四川省成都市金牛区蜀西路
108 号, Sichuan 610036 (CN)。

(74) 代理人: 北京信诺创成知识产权代理
有限公司(SINO-CREATIVITY INTELLECTUAL
PROPERTY LAW FIRM); 中国北京市朝阳区
光华路 7 号汉威大厦东区 25A3-1 室,
Beijing 100020 (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,

(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, 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))。

(54) Title: MODIFIED AAV CAPSID PROTEIN AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 经过修饰的 AAV 衣壳蛋白及其用途

(57) Abstract: The present invention relates to a modified adeno-associated virus (AAV) capsid protein and use thereof; said capsid protein comprises substitutions of approximately 5 – 14 amino acids with respect to a parent AAV capsid protein; furthermore, the AAV containing the modified capsid protein has increased infectiousness with respect to a target tissue or target cell (e.g. retinal cell) in comparison with an AAV comprising an unmodified parent AAV capsid protein.

(57) 摘要: 本发明涉及经过修饰的腺相关病毒衣壳蛋白及其用途, 所述衣壳蛋白相对于亲本 AAV 衣壳蛋白包含约 5-14 个氨基酸的取代, 并且包含所述经过修饰的衣壳蛋白的 AAV 与包含未修饰的亲本 AAV 衣壳蛋白的 AAV 相比, 对靶组织或靶细胞(例如视网膜细胞)具有增加的感染性。



WO 2023/125481 A1