

(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
2024 年 12 月 5 日 (05.12.2024)



(10) 国际公布号
WO 2024/244304 A1

(51) 国际专利分类号:
A61K 9/51 (2006.01) *A61K 9/19* (2006.01)
A61K 47/26 (2006.01)
(21) 国际申请号: PCT/CN2023/130039
(22) 国际申请日: 2023 年 11 月 7 日 (07.11.2023)
(25) 申请语言: 中文
(26) 公布语言: 中文
(30) 优先权:
PCT/CN2023/098109
2023 年 6 月 2 日 (02.06.2023) CN
(71) 申请人: 康希诺生物股份公司 (CANSINO
BIOLOGICS INC.) [CN/CN]; 中国天津市滨海新

区经济技术开发区西区南大街 185 号西区
生物医药园四层 401-420, Tianjin 300457 (CN)。
康希诺 (上海) 生物研发有限公司 (CANSINO
(SHANGHAI) BIOLOGICAL RESEARCH CO., LTD.)
[CN/CN]; 中国上海市浦东新区李冰路 67 弄
7 号, Shanghai 201203 (CN)。

(72) 发明人: 葛晨 (GE, Chen); 中国天津市滨海新区经济
技术开发区西区南大街 185 号西区生物医药园四
层 401-420, Tianjin 300457 (CN)。朱涛 (ZHU, Tao);
中国天津市滨海新区经济技术开发区西区南大街
185 号西区生物医药园四层 401-420, Tianjin 300457
(CN)。邱东旭 (QIU, Dongxu); 中国天津市滨海新
区经济技术开发区西区南大街 185 号西区生物医药
园四层 401-420, Tianjin 300457 (CN)。刘健 (LIU,

(54) Title: NUCLEIC ACID-LIPID NANOPARTICLE COMPOSITION, AND LYOPHILIZED PREPARATION THEREOF, PREPARATION METHOD THEREFOR AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 核酸-脂质纳米颗粒组合物、及其冻干制剂、制备方法和应用

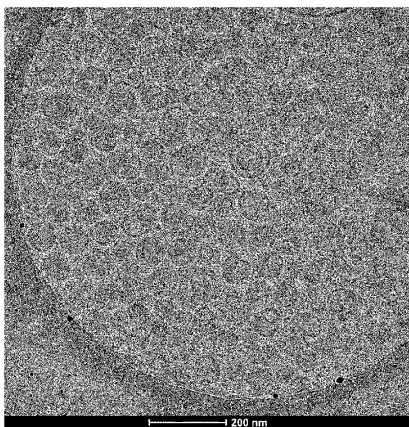


图 1

(57) Abstract: The present disclosure relates to a nucleic acid-lipid nanoparticle composition and a lyophilized preparation thereof, and further relates to a preparation method for the composition and a use of the composition. The nucleic acid-lipid nanoparticle composition of the present disclosure comprises lactate, so that the stability of nucleic acid-lipid nanoparticles is improved in a lyophilization process and a prepared lyophilized preparation. According to the present disclosure, the total time of a freeze-drying process for the nucleic acid-lipid nanoparticles can be shortened, and energy consumption and the time cost of product scale-up production can be greatly reduced; the rehydration of lyophilized nucleic acid-lipid nanoparticles is quick, and the total amount of nucleic acids, the encapsulation efficiency, and the nucleic acid integrity are high; in addition, a lyophilized and rehydrated preparation has cell transfection efficiency not significantly different from that of a non-lyophilized nucleic acid-lipid nanoparticle stock solution, and has a high in vivo immune response, even exceeding that of the non-lyophilized nucleic acid-lipid nanoparticle stock solution.

(57) 摘要: 本公开涉及一种核酸-脂质纳米颗粒组合物及其冻干制剂, 还涉及其制备方法和应用。本公开的核酸-脂质纳米颗粒组合物包括乳酸盐, 从而在冻干过程以及制得的冻干制剂中提高了核酸-脂质纳米颗粒的稳定性。本公开可将核酸-脂质纳米颗粒冷冻干燥工艺总时长缩短、显著降低能源消耗和产品放大生产的时间成本, 冻干的核酸-脂质纳米颗粒复水迅速, 核酸总量、包封率及核酸完整性高, 除此之外, 冻干复水后制剂的细胞转染效率与和未冻干核酸-脂质纳米颗粒体原液无显著性差异, 且体内免疫应答高, 甚至超过未冻干核酸-脂质纳米颗粒体原液。

[见续页]

WO 2024/244304 A1

Jian); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区南大街185号西区生物医药园四层401-420, Tianjin 300457 (CN)。王浩猛(**WANG, Haomeng**); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区南大街185号西区生物医药园四层401-420, Tianjin 300457 (CN)。何军(**HE, Jun**); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区南大街185号西区生物医药园四层401-420, Tianjin 300457 (CN)。严志红(**YAN, Zhihong**); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区南大街185号西区生物医药园四层401-420, Tianjin 300457 (CN)。王正华(**WANG, Zhenghua**); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区南大街185号西区生物医药园四层401-420, Tianjin 300457 (CN)。

(74) 代理人: 北京领科知识产权代理事务所(特殊普通合伙) (**BEIJING LINKTEC IP LAW FIRM (SPECIAL GENERAL PARTNERSHIP)**); 中国北京市海淀区大钟寺13号院1号楼12层12B17, Beijing 100098 (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, 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))。