

(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 2025/103396 A1

(43) 国际公布日
2025 年 5 月 22 日 (22.05.2025) **WIPO | PCT**

- (51) 国际专利分类号:
A61K 9/51 (2006.01) **C12N 15/11** (2006.01)
A61K 9/127 (2025.01) **A61P 9/00** (2006.01)
A61K 47/24 (2006.01)
- (21) 国际申请号: PCT/CN2024/131953
- (22) 国际申请日: 2024 年 11 月 14 日 (14.11.2024)
- (25) 申请语言: 中文
- (26) 公布语言: 中文
- (30) 优先权:
202311517076.7 2023 年 11 月 14 日 (14.11.2023) CN
202311528241.9 2023 年 11 月 15 日 (15.11.2023) CN
- (71) 申请人: 上海瑞宏迪医药有限公司 (SHANGHAI REGENEAL THERAPIES 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 201206 (CN)。
- (72) 发明人: 刘君 (LIU, Jun); 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 201206 (CN)。唐晓娇 (TANG, Xiaojiao); 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 201206 (CN)。汤琪 (TANG, Qi); 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 201206 (CN)。成杰伟 (CHENG, Jiewei); 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 201206 (CN)。蒲晓容 (PU, Xiaorong); 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 201206 (CN)。宁威 (NING, Wei); 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 201206 (CN)。廖成 (LIAO, Cheng); 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 201206 (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 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, 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))。
- 包括说明书序列表部分(细则 5.2(a))。

(54) Title: PHARMACEUTICAL COMPOSITION COMPRISING NUCLEIC ACID CONSTRUCT AND MEDICAL USE THEREOF

(54) 发明名称: 一种含核酸构建体的药物组合物及其医药用途

(57) Abstract: A pharmaceutical composition comprising a nucleic acid construct and the medical use thereof. Specifically, the present invention relates to a lipid nanoparticle comprising a nucleic acid construct represented by formula I, which can achieve highly efficient delivery of an exogenous target gene, allowing the exogenous target gene to be highly efficiently and rapidly expressed in the body. The present invention has the advantages of no gene integration risk and being easy to scale up to an industrial level, is a more ideal treatment approach than naked plasmids, and can be used as a gene therapy drug for a plurality of diseases.

(57) 摘要: 一种含核酸构建体的药物组合物及其医药用途。具体地, 涉及包含式 I 所示的脂质纳米颗粒可以实现外源目的基因的高效递送, 使得外源目的基因在体内高效、快速表达, 具有无基因整合风险、易于工业级放大的优点, 是较裸质粒更为理想的治疗方案, 可用作多种疾病的基因治疗药物。



WO 2025/103396 A1