

(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 2025/067403 A1

(43) 国际公布日

2025 年 4 月 3 日 (03.04.2025)

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/113 (2010.01) *A61K 38/42* (2006.01)
C12N 15/12 (2006.01) *A61P 7/06* (2006.01)
A61K 48/00 (2006.01)

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/CN2024/121666

(22) 国际申请日: 2024 年 9 月 27 日 (27.09.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202311287074.3 2023年9月28日 (28.09.2023) CN

(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)。

(71) 申请人: 上海天泽云泰生物医药有限
公司 (SHANGHAI VITALGEN BIOPHARMA CO.,
LTD.) [CN/CN]; 中国上海市浦东新区伽利略
路11号2幢 201210 (CN)。

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))。

(72) 发明人: 瞿苏 (QU, Su); 中国上海市浦东新区伽
利略路11号2幢 201210 (CN)。赵月蒙 (ZHAO,
Yuemeng); 中国上海市浦东新区伽利略路11号
2幢 201210 (CN)。田幸雪 (TIAN, Shin-shay); 中
国上海市浦东新区伽利略路11号2幢 201210
(CN)。赵小平 (ZHAO, Xiaoping); 中国上海市浦东
新区伽利略路11号2幢 201210 (CN)。

(74) 代理人: 上海巔石知识产权代理事务所
(普通合伙) (SHANGHAI DIANSHI PARTNERS,
P.C.); 中国上海市浦东新区盛夏路608号
3号楼103室 201210 (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: COMPOSITION AND METHOD FOR TREATING HEMOGLOBIN DISEASES

(54) 发明名称: 用于治疗血红蛋白疾病的组合物和方法

(57) Abstract: Provided are a gRNA molecule and a nucleic acid, complex, composition, cell, and kit thereof. Also provided is a method for increasing the HbF expression level in progeny red blood cells of human CD34+ HSPCs by means of genome editing; the method can be used for treating hemoglobinopathies such as β -thalassemia and sickle cell disease.

(57) 摘要: 提供 gRNA 分子及其核酸、复合物、组合物、细胞和试剂盒。还提供了通过基
因组编辑提高人 CD34+HSPCs 的子代红细胞中 HbF 表达水平的方法, 该方法可用于治疗
血红蛋白病, 如 β -地中海贫血和镰状细胞病。



WO 2025/067403 A1