

(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 2024/240080 A1

(43) 国际公布日
2024 年 11 月 28 日 (28.11.2024)

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/113 (2010.01) *A61K 31/712* (2006.01)
A61K 31/713 (2006.01) *C07H 21/02* (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/093907

(22) 国际申请日: 2024 年 5 月 17 日 (17.05.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:

202310574400.2 2023年5月19日 (19.05.2023) CN

(71) 申请人:北京炫景瑞医药科技有限公司(RIGERNA THERAPEUTICS (BEIJING) CO., LTD.) [CN/CN]; 中国北京市大兴区中关村科技园区大兴生物医药产业基地永大路38号1幢4层409-316室 (集群注册), Beijing 102629 (CN)。

(72) 发明人:黄渊余(HUANG, Yuanyu); 中国北京市大兴区中关村科技园区大兴生物医药产业基地永大路38号1幢4层409-316室 (集群注册), Beijing 102629 (CN)。李海涛(LI, Haitao); 中国北京市大兴区中关村科技园区大兴生物医药产业基地永大路38号1幢4层409-316室 (集群注册), Beijing 102629 (CN)。韩晓凤(HAN, Xiaofeng); 中国北京市大兴区中关村科技园区大兴生物医药产业基地永大路38号1幢4层409-316室 (集群注册), Beijing 102629 (CN)。高永鑫(GAO, Yongxin); 中国北京市大兴区中关村科技园区大兴生物医药产业基地永大路38号1幢4层409-316室 (集群注册), Beijing 102629 (CN)。

(74) 代理人:北京超凡宏宇知识产权代理有限公司(CHOFN INTELLECTUAL PROPERTY); 中国北京市海淀区北四环西路68号左岸工社1215-1218室, Beijing 100080 (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: DOUBLE-STRANDED OLIGONUCLEOTIDE, CONJUGATE THEREOF, AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 双链寡核苷酸及其缀合物和用途

(57) Abstract: Provided are a preparation method for a modified double-stranded oligonucleotide, an oligonucleotide conjugate or a composition, and use. Provided is a modified double-stranded oligonucleotide. Specific modification of a single site or a plurality of sites is carried out on a specific site of a sense strand and/or an antisense strand of an oligonucleotide, so that the modified oligonucleotide can have good pharmaceutical activity and have good application prospects in the development of RNA interference (RNAi)-based drugs.

(57) 摘要: 提供修饰的双链寡核苷酸、寡核苷酸缀合物或组合物的制备方法和用途。提供了一种修饰的双链寡核苷酸, 在寡核苷酸的正义链和/或反义链特定定位点进行单个或多个位点的特定修饰可以使得修饰的寡核苷酸具有良好的药学活性, 在RNA干扰(RNAi)的药物开发中具有良好的应用前景。

WO 2024/240080 A1