

(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 2024/227458 A3

(43) 国际公布日
2024 年 11 月 7 日 (07.11.2024)

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/113 (2010.01) **A61K 47/54** (2017.01)
A61K 31/713 (2006.01) **A61P 9/12** (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/113157

(22) 国际申请日: 2024 年 8 月 19 日 (19.08.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:

202311056610.9	2023 年 8 月 22 日 (22.08.2023)	CN
202410174415.4	2024 年 2 月 7 日 (07.02.2024)	CN
202410742179.1	2024 年 6 月 7 日 (07.06.2024)	CN

(71) 申请人: 成都先衍生物技术有限公司 (LEADERNA THERAPEUTICS, LTD.) [CN/CN]; 中国四川省成都市双流区 (天府国际生物城) 慧谷东一路 8 号 6 栋, Sichuan 610219 (CN)。

(72) 发明人: 刘兆贵 (LIU, Zhaogui); 中国四川省成都市双流区 (天府国际生物城) 慧谷东一路 8 号 6 栋, Sichuan 610219 (CN)。万金桥 (WAN, Jinqiao); 中国四川省成都市双流区 (天府国际生物城) 慧谷东一路 8 号 6 栋, Sichuan 610219 (CN)。王钊 (WANG, Zhao); 中国四川省成都市双流区 (天府国际生物城) 慧谷东一路 8 号 6 栋, Sichuan 610219 (CN)。周洁华 (ZHOU, Jiehua); 中国四川省成都市双流区 (天府国际生物城) 慧谷东一路 8 号 6 栋, Sichuan 610219 (CN)。

(74) 代理人: 中国贸促会专利商标事务所有限公司 (CCPIT PATENT AND TRADEMARK LAW OFFICE); 中国北京市西城区复兴门内大街 158 号远洋大厦 F10 层, Beijing 100031 (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))。
- 在修改权利要求的期限届满之前进行, 在收到该修改后将重新公布 (细则 48.2(h))。
- 根据申请人的请求, 在条约第 21 条 (2)(a) 所规定的期限届满之前进行。
- 包括说明书序列列表部分 (细则 5.2(a))。

(88) 国际检索报告公布日期:

2025 年 1 月 9 日 (09.01.2025)

(54) Title: SIRNA TARGETING AGT GENE EXPRESSION AND CONJUGATE AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 一种靶向 AGT 基因表达的 siRNA 及其缀合物和用途

(57) Abstract: Provided in the present invention are an siRNA that inhibits AGT gene expression and a conjugate thereof. The siRNA contains a sense strand and an anti-sense strand. The siRNA, siRNA conjugate and pharmaceutical composition have good stability, an excellent inhibitory activity against the AGT gene, and satisfactory cytotoxicity and immunostimulatory activities.

(57) 摘要: 提供了一种抑制 AGT 基因表达的 siRNA 及其缀合物, 其包含正义链和反义链。提供的 siRNA、siRNA 缀合物和药物组合物具有良好的稳定性、出色的 AGT 基因抑制活性、令人满意的细胞毒性和免疫刺激性。



WO 2024/227458 A3