

(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 2024/208249 A1

(43) 国际公布日
2024 年 10 月 10 日 (10.10.2024)

(51) 国际专利分类号:
C07H 21/04 (2006.01) *C07F 9/22* (2006.01)
C07D 239/54 (2006.01) *C07F 9/32* (2006.01)
C07F 9/141 (2006.01) *A61P 43/00* (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/085752

(22) 国际申请日: 2024 年 4 月 3 日 (03.04.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
PCT/CN2023/086603
2023 年 4 月 6 日 (06.04.2023) CN
PCT/CN2023/129195
2023 年 11 月 2 日 (02.11.2023) CN

(71) 申请人: 上海帕望制药有限公司(SHANGHAI ARGO
BIOPHARMACEUTICAL CO., LTD.) [CN/CN]; 中国
上海市嘉定区江桥镇沙河路 337 号 1_203
室 J2026, Shanghai 201803 (CN)。

(72) 发明人: 邵鹏程(SHAO, Pengcheng Patrick); 美国宾
夕法尼亚州沃灵顿艾迪逊路 631 号, Pennsylvania

18976 (US)。舒东旭(SHU, Dongxu); 中国浙江省
宁波市鄞州区邱隘镇青年路 535 弄 24 号 201
室, Zhejiang 315100 (CN)。顾开春(GU, Kaichun);
中国上海市浦东新区沈括路 581 号众通大
厦 4 楼, Shanghai 201210 (CN)。

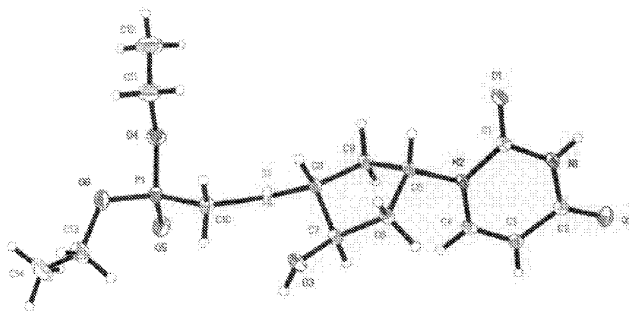
(81) 指定国(除另有指明, 要求每一种可提供的国家
保护): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG,
BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU,
CV, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI,
GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IQ,
IR, IS, IT, JM, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ,
LA, LC, LK, 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,
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,

(54) **Title:** NUCLEOSIDE ANALOG FOR 5'-PHOSPHONATE MODIFICATION AND OLIGONUCLEOTIDE PREPARED THEREFROM

(54) 发明名称: 5'-磷酸酯修饰的核苷类似物及其制备的寡核苷酸

[图 1]



(57) **Abstract:** The present invention relates to a nucleoside analog for 5' modification and an oligonucleotide prepared therefrom, and more particularly to a modification nucleoside and an analog thereof that can be incorporated into the end of an oligonucleotide, and may be incorporated into a double-stranded oligonucleotide (short interfering RNA) or single-stranded oligonucleotide (e.g., an antisense oligonucleotide). The oligonucleotide provided is expected to hybridize with a portion of a target RNA, thereby resulting in loss of the normal function of the target RNA.

(57) 摘要: 涉及可用于 5' 修饰的核苷类似物以及由它们制备的寡核苷酸, 更具体涉及可用于并入到寡核苷酸末端的修饰核苷及其类似物, 可以结合到双链寡核苷酸(短干扰 RNA)或单链寡核苷酸(例如反义寡核苷酸)中。预期提供的所述寡核苷酸与靶 RNA 的一部分杂交, 从而导致所述靶 RNA 正常功能的丧失。

[见续页]



WO 2024/208249 A1

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))。