

(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 2023/198050 A1

(43) 国际公布日

2023 年 10 月 19 日 (19.10.2023)

WIPO | PCT

(51) 国际专利分类号:

C07K 14/015 (2006.01) A61K 38/16 (2006.01)
C12N 15/35 (2006.01) A61K 48/00 (2006.01)
C12N 15/864 (2006.01) A61P 27/02 (2006.01)
C12N 5/10 (2006.01) A61P 27/16 (2006.01)
C12N 7/01 (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2023/087598

(22) 国际申请日: 2023 年 4 月 11 日 (11.04.2023)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:

202210383577.X 2022 年 4 月 12 日 (12.04.2022) CN

(71) 申请人: 合肥星眸生物科技有限公司 (STARRYGENE THERAPEUTICS CO., LTD.)
[CN/CN]; 中国安徽省合肥市高新区望江西路 5089 号中国科学技术大学先进技术研究院嵌入式研发楼 103-A6, Anhui 230031 (CN)。

(72) 发明人: 才源(CAI, Yuan); 中国安徽省合肥市高新区望江西路 5089 号中国科学技术大学先进技术研究院嵌入式研发楼 103-A6, Anhui 230031 (CN)。朱莹(ZHU, Ying); 中国安徽省合肥市高新区望江西路 5089 号中国科学技术大学先进技术研究院嵌入式研发楼 103-A6, Anhui 230031 (CN)。张洁(ZHANG, Jie); 中国安徽省合肥市高新区望江西路 5089 号中国科学技术大学先进技术研究院嵌入式研发楼 103-A6, Anhui 230031 (CN)。钟桂生(ZHONG, Guisheng); 中国上海市浦东新区蔡伦路 781 号 807 室, Shanghai 201210 (CN)。储岑凤(CHU, Cenfeng); 中国上海市浦东新区蔡伦路 781 号 807 室, Shanghai 201210 (CN)。

(74) 代理人: 北京市立方律师事务所等(LIFANG & PARTNERS et al.); 中国北京市东城区香河园街 1 号院信德京汇中心 12 层, Beijing 100028 (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: FUSION TYPE ADENO-ASSOCIATED VIRUS AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 一种融合型腺相关病毒及其应用

(57) Abstract: The present invention relates to the field of biological medicines. Disclosed are a fusion type adeno-associated virus and a use thereof in ear diseases and ophthalmic diseases. The fusion type adeno-associated virus comprises a fusion peptide fragment formed by fusion of peptide fragments of serotype AAV1, AAV2, AAV6 and AAV7, or a variant thereof, and can efficiently infect an RPE layer for the treatment of ophthalmic diseases. The fusion type adeno-associated virus has a wide application prospect in the treatment of ophthalmic diseases as a safe vector.

(57) 摘要: 本发明涉及生物医药领域, 公开了一种融合型腺相关病毒及其在耳病和眼科疾病中的应用。所述融合型腺相关病毒包含血清型 AAV1、AAV2、AAV6 和 AAV7 的肽段融合形成的融合肽段或其变体, 其能高效地感染 RPE 层, 用于眼科疾病治疗。所述融合型腺相关病毒作为安全的载体, 在治疗眼科疾病中具有广泛应用前景。



WO 2023/198050 A1