

(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 2025/045033 A1

(43) 国际公布日
2025 年 3 月 6 日 (06.03.2025)

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/864 (2006.01) *C12N 15/55* (2006.01)
C12N 9/02 (2006.01) *C12N 15/60* (2006.01)
C12N 9/78 (2006.01) *C07K 14/015* (2006.01)
C12N 9/88 (2006.01) *A61K 48/00* (2006.01)
C12N 15/53 (2006.01) *A61P 25/16* (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2024/114821

(22) 国际申请日: 2024 年 8 月 27 日 (27.08.2024)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202311094965.7 2023年8月28日 (28.08.2023) CN

(71) 申请人: 康霖生物科技(杭州)有限公司(KANGLIN BIOTECH (HANGZHOU) CO., LTD.)
[CN/CN]; 中国浙江省杭州市经济技术开发区下沙街道福城路 291 号 4-301 室, Zhejiang 310018 (CN)。

(72) 发明人: 吴昊泉(WU, Haoquan); 中国浙江省杭州市经济技术开发区下沙街道福城路 291 号 4-301 室, Zhejiang 310018 (CN)。 丁彦甫(DING, Yanfu); 中国浙江省杭州市经济技术开发区下沙街道福城路 291 号 4-301 室, Zhejiang 310018 (CN)。 苏玲玲(SU, Lingling); 中国浙江省杭州市经济技术开发区下沙街道福城路 291 号 4-301 室, Zhejiang 310018 (CN)。

(74) 代理人: 北京市柳沈律师事务所(LIU, SHEN & ASSOCIATES); 中国北京市海淀区彩和坊路 10 号 1 号楼 10 层, 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: GENE THERAPY VECTOR FOR TREATING PARKINSON'S DISEASE AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 用于治疗帕金森病的基因治疗载体及其用途

(57) Abstract: Provided are a gene therapy vector for treating Parkinson's disease and a use thereof. Specifically, provided is an adeno-associated virus (AAV) vector for treating Parkinson's disease, which can simultaneously express functional tyrosine hydroxylase (TH), GTP-cyclohydrolase 1 (GCH1) and aromatic amino acid decarboxylase (AADC) to promote dopamine synthesis. Also provided are an AAV virus particle containing the AAV vector, a composition containing the AAV vector or the AAV virus particle, and uses of the AAV vector, the AAV virus particle and the composition in the preparation of drugs for preventing or treating Parkinson's disease.

(57) 摘要: 提供了用于治疗帕金森病的基因治疗载体及其用途。具体地, 提供了用于治疗帕金森病的腺相关病毒(AAV)载体, 其可以同时表达功能性酪氨酸羟化酶(TH)、GTP-环化水解酶1(GCH1)以及芳香族氨基酸多巴脱羧酶(AADC)以促进多巴胺合成。还提供了包含前述AAV载体的AAV病毒颗粒、包含前述AAV载体或AAV病毒颗粒的组合物、以及前述AAV载体、AAV病毒颗粒和组合物在制备用于预防或治疗帕金森病的药物中的用途。

WO 2025/045033 A1