

(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 2024/027809 A1

(43) 国际公布日
2024 年 2 月 8 日 (08.02.2024)

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/113 (2010.01) *A61P 3/06* (2006.01)
A61K 31/713 (2006.01) *A61P 9/10* (2006.01)
A61P 1/16 (2006.01) *A61P 7/02* (2006.01)
A61P 29/00 (2006.01) *A61P 9/00* (2006.01)

(71) 申请人: 厦门甘宝利生物医药有限公司 (KYLONOVA (XIAMEN) BIOPHARMA CO., LTD.) [CN/CN]; 中国福建省厦门市海沧区新园路 120 号技术服务中心 3 层 02 单元, Fujian 361022 (CN)。

(21) 国际申请号: PCT/CN2023/111121

(22) 国际申请日: 2023 年 8 月 4 日 (04.08.2023)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:

202210936491.5	2022 年 8 月 5 日 (05.08.2022)	CN
202310260531.3	2023 年 3 月 17 日 (17.03.2023)	CN
202310655563.3	2023 年 6 月 5 日 (05.06.2023)	CN

(72) 发明人: 崔坤元 (CUI, Kunyuan); 中国福建省厦门市海沧区新园路 120 号技术服务中心 3 层 02 单元, Fujian 361022 (CN)。 卢雪琴 (LU, Xueqin); 中国福建省厦门市海沧区新园路 120 号技术服务中心 3 层 02 单元, Fujian 361022 (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,

(54) Title: RNA INHIBITOR FOR INHIBITING APOC3 GENE EXPRESSION AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 一种抑制APOC3基因表达的RNA抑制剂及其应用

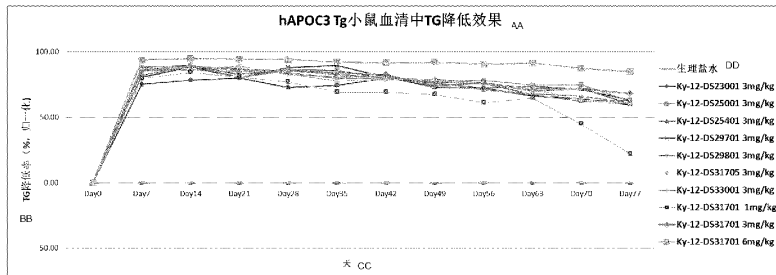


图 9

AA TG reduction effect in hAPOC3 Tg mouse serum
BB TG reduction rate (% , normalized)
CC Day
DD Normal saline

(57) Abstract: The present invention pertains to the field of biopharmaceutics, and particularly relates to an RNA inhibitor for inhibiting APOC3 gene expression or a pharmaceutically acceptable salt thereof. The RNA inhibitor comprises a sense strand and an antisense strand. The sense strand and the antisense strand are each independently 15-30 nucleotides, preferably 19-23 nucleotides in length. At least 80% of the bases are complementary between the sense strand and the antisense strand. The RNA inhibitor further comprises the carrier structures 5'MVIP and 3'MVIP. The present application further relates to a pharmaceutical composition comprising the RNA inhibitor for inhibiting APOC3 gene expression and use thereof in the treatment and prevention of cardiovascular and cerebrovascular diseases.

(57) 摘要: 本发明属于生物医药领域, 具体涉及一种抑制APOC3基因表达的RNA抑制剂或其药学上可接受的盐, 其中, RNA抑制剂包含正义链和反义链, 正义链和反义链的链长各自独立地为15-30个核苷酸, 优选为19-23个核苷酸, 正义链和反义链之间至少有80%的碱基互补。RNA抑制剂还包括载体结构5'MVIP和3'MVIP。本申请还涉及包含抑制APOC3基因表达的RNA抑制剂的药物组合物及其在心脑血管疾病的治疗与预防方面的应用。

[见续页]

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))。
- 包括说明书序列表部分(细则5.2(a))。