

(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

(43) 国际公布日
2021 年 3 月 25 日 (25.03.2021)



(10) 国际公布号
WO 2021/052470 A1

(51) 国际专利分类号:

C12N 15/113 (2010.01) *A61P 7/04* (2006.01)
C12N 15/85 (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2020/116227

(22) 国际申请日: 2020 年 9 月 18 日 (18.09.2020)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:

201910891508.8 2019年9月20日 (20.09.2019) CN

(71) 申请人: 中美瑞康核酸技术(南通)研究院有限公司 (**RACTIGEN THERAPEUTICS**) [CN/CN]; 中国江苏省南通市如东县掘港街道珠江路888号生命健康产业园18号楼, Jiangsu 226400 (CN)。

(72) 发明人: 李龙承 (**LI, Longcheng**); 中国江苏省南通市如东县掘港街道珠江路888号生命健康产业园18号楼, Jiangsu 226400 (CN)。 姜武林 (**KANG, Moorim**); 中国江苏省南通市如东县掘港街道珠江路888号生命健康产业园18号楼, Jiangsu 226400 (CN)。

(74) 代理人: 上海巔石知识产权代理事务所 (普通合伙) (**SHANGHAI DIANSHI PARTNERS**,

P. C.); 中国上海市浦东新区盛夏路608号2号楼103室, 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, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, IT, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, 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, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, 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, 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))。

(54) **Title:** NUCLEIC ACID MOLECULE FOR TREATING IMMUNE THROMBOCYTOPENIA AND APPLICATION THEREOF

(54) 发明名称: 用于治疗血小板减少症的核酸分子及其应用

(57) **Abstract:** Provided are an RNA activation mechanism-based small activating nucleic acid molecule and application thereof in treatment of THPO protein deficiency or insufficiency-related diseases or symptoms such as immune thrombocytopenia. The small activating nucleic acid molecule is a double-stranded or single-stranded RNA molecule targeting a Thpo/THPO gene promoter region, and comprises a first nucleic acid strand and a second nucleic acid strand; the double-stranded RNA molecule targeting the Thpo/THPO gene promoter region comprises two nucleic acid strands having the length of 16-35 nucleotides, and one of the nucleic acid strands has at least 75% homology or complementarity with a target selected from the Thpo/THPO gene promoter region. Also provided are a pharmaceutical composition or preparation comprising the small activating nucleic acid molecule, and a method in which the use of the small activating nucleic acid molecule and the use of the pharmaceutical composition or preparation can promote expression of Thpo/THPO genes in cells and treat THPO protein deficiency or insufficiency-related diseases or symptoms or immune thrombocytopenia caused by various reasons.

(57) 摘要: 提供了一种基于RNA激活机制的小激活核酸分子及其在与THPO蛋白质缺乏或不足相关的疾病或状况如血小板减少症治疗中的应用。所述小激活核酸分子是靶向Thpo/THPO基因启动子区的双链或单链RNA分子, 包含第一核酸链和第二核酸链; 靶向Thpo/THPO基因启动子区的双链RNA分子包含两条长度为16-35个核苷酸的核酸链, 并且其中一条核酸链与选自Thpo/THPO基因启动子区的靶点存在至少75%的同源性或互补性。还提供了包含所述小激活核酸分子的药物组合物或制剂; 使用所述小激活核酸分子以及使用所述药物组合物或制剂可以上调Thpo/THPO基因在细胞中的表达以及治疗与THPO蛋白质缺乏或不足相关的疾病或状况或因各种原因引起的血小板减少症的方法。

WO 2021/052470 A1