

【公報種別】特許法第17条の2の規定による補正の掲載

【部門区分】第3部門第2区分

【発行日】令和1年10月24日(2019.10.24)

【公表番号】特表2018-537403(P2018-537403A)

【公表日】平成30年12月20日(2018.12.20)

【年通号数】公開・登録公報2018-049

【出願番号】特願2018-513463(P2018-513463)

【国際特許分類】

C 07 C	323/52	(2006.01)
C 07 D	295/15	(2006.01)
A 61 K	9/14	(2006.01)
A 61 K	47/18	(2006.01)
A 61 K	47/30	(2006.01)
A 61 K	47/28	(2006.01)
A 61 K	47/14	(2006.01)
A 61 K	47/24	(2006.01)
A 61 K	47/22	(2006.01)
A 61 K	31/713	(2006.01)
A 61 K	31/7105	(2006.01)
A 61 K	48/00	(2006.01)
A 61 P	35/00	(2006.01)

【F I】

C 07 C	323/52	C S P
C 07 D	295/15	
A 61 K	9/14	
A 61 K	47/18	
A 61 K	47/30	
A 61 K	47/28	
A 61 K	47/14	
A 61 K	47/24	
A 61 K	47/22	
A 61 K	31/713	
A 61 K	31/7105	
A 61 K	48/00	
A 61 P	35/00	

【手続補正書】

【提出日】令和1年9月11日(2019.9.11)

【手続補正1】

【補正対象書類名】特許請求の範囲

【補正対象項目名】全文

【補正方法】変更

【補正の内容】

【特許請求の範囲】

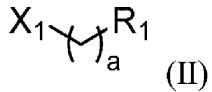
【請求項1】

下記式のデンドリマー：

コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(1)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアは下記式を有し:

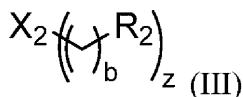


式中、

$X_1$  はアミノもしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ヘテロアリール<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはその置換型であり;

$R_1$  はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり; ならびに  
aは1、2、3、4、5、もしくは6であり; あるいは

コアは下記式を有し:



式中、

$X_2$  はN(R<sub>5</sub>)<sub>y</sub>であり;

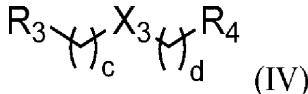
$R_5$  は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-18</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-18</sub>)</sub>であり; ならびに  
 $y$ および $z$ の和が3であるという条件で、 $y$ は0、1、もしくは2であり;

$R_2$  はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり;

$b$ は1、2、3、4、5、もしくは6であり; ならびに

$z$ および $y$ の和が3であるという条件で、 $z$ は1、2、3であり; あるいは

コアは下記式を有し:



式中、

$X_3$  は-NR<sub>6</sub>-であり、式中、 $R_6$  は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、-O-、もしくはアルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、アルコキシジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、ヘテロアレーンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルカンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり;

$R_3$  および $R_4$  は各々独立してアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型; または式: -(CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>N)<sub>e</sub>(R<sub>c</sub>)R<sub>d</sub> の基であり;

式中、

$e$ は1、2、もしくは3であり;

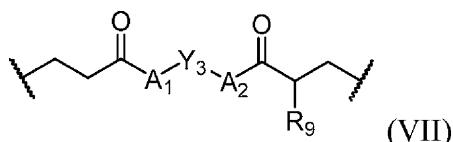
$R_c$  および $R_d$  は各々独立して水素、アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub> であり;

$c$ および $d$ は各々独立して1、2、3、4、5、もしくは6であり; または

コアはアルキルアミン<sub>(C<sub>1-18</sub>)</sub>、ジアルキルアミン<sub>(C<sub>1-36</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルカン<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり;

繰り返し単位は分解性ジアシルおよびリンカーを含み;

分解性ジアシル基は下記式を有し:



式中、

$A_1$  および $A_2$  は各々独立して-O-もしくは-NR<sub>a</sub>-であり、式中、

$R_a$  は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub> であり;

$Y_3$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



の基であり；

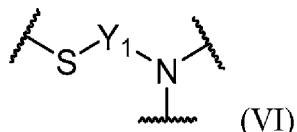
式中、

$X_3$ および $X_4$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$Y_5$ は共有結合、アルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

$R_9$ はアルキル $(C_{1-8})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-8})$ であり；

リンカー基は下記式を有し：



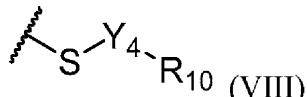
式中、

$Y_1$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄原子の両方で分解性ジアシル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジアシル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つの分解性ジアシル基を含み；ならびに

$n$ は、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基は下記式を有し：



式中、

$Y_4$ はアルカンジイル $(C_{1-18})$ またはアルカンジイル $(C_{1-18})$ 上の水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $(C_{1-18})$ であり；

$R_{10}$ は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール $(C_{1-12})$ 、アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アルカンジイル $(C_{1-6})$ -ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)-アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ であり、式中、

$R_{11}$ は水素、アルキル $(C_{1-6})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-6})$ であり；

鎖中の最後の分解性ジアシルは末端基に結合されており；

$n$ は0、1、2、3、4、5、もしくは6である；

または薬学的に許容されるその塩。

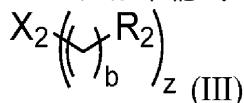
## 【請求項 2】

デンドリマーは下記式を有する：

コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(I)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアは下記式を有し：



式中、

$X_2$  は  $N(R_5)_y$  であり；

$R_5$  は水素もしくはアルキル $(C_{-8})$ 、もしくは置換アルキル $(C_{-18})$ であり；ならびに

$y$  および  $z$  の和が 3 であるという条件で、 $y$  は 0、1、もしくは 2 であり；

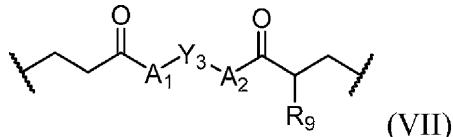
$R_2$  はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ $(C_{-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{-12})$ 、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$b$  は 1、2、3、4、5、もしくは 6 であり；ならびに

$z$  および  $y$  の和が 3 であるという条件で、 $z$  は 1、2、3 であり；

繰り返し単位は分解性ジアシリルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシリル基は下記式を有し：

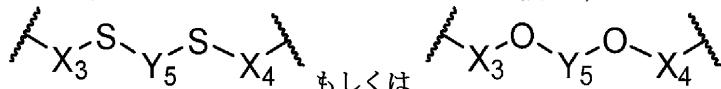


式中、

$A_1$  および  $A_2$  は各々独立して -O- もしくは  $-NR_a-$  であり、式中、

$R_a$  は水素、アルキル $(C_{-6})$ 、もしくは置換アルキル $(C_{-6})$ であり；

$Y_3$  はアルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



の基であり；

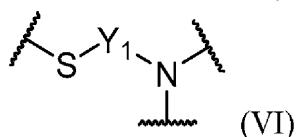
式中、

$X_3$  および  $X_4$  はアルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$Y_5$  は共有結合、アルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

$R_9$  はアルキル $(C_{-8})$  もしくは置換アルキル $(C_{-8})$  であり；

リンカー基は下記式を有し：



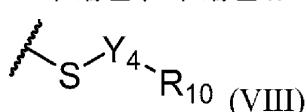
式中、

$Y_1$  はアルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄原子の両方で分解性ジアシリル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジアシリル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つの分解性ジアシリル基を含み；ならびに

$n$  は、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基、末端基は下記式を有し：



式中、

$Y_4$  はアルカンジイル $(C_{-18})$  またはアルカンジイル $(C_{-18})$  上の水素原子の 1 つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub> もしくは -OC(O)CH<sub>3</sub> で

置換されているアルカンジイル<sub>(C<sub>1-18</sub>)</sub>であり；

R<sub>10</sub>は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、N-ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アルカンジイル<sub>(C<sub>6</sub>)</sub>-ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、-C(O)-アルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、-C(O)-ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>であり、

鎖中の最後の分解性ジアシリルは末端基に結合されており；

nは0、1、2、3、4、5、もしくは6である、

請求項1記載のデンドリマーまたは薬学的に許容されるその塩。

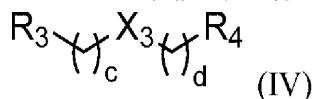
### 【請求項3】

デンドリマーは下記式を有する：

コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(Ⅰ)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアは下記式を有し：



式中、

X<sub>3</sub>は-NR<sub>6</sub>-であり、式中、R<sub>6</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、-O-、もしくはアルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、アルコキシジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、ヘテロアレーンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルカンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

R<sub>3</sub>およびR<sub>4</sub>は各々独立してアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：-(CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>N)<sub>e</sub>(R<sub>c</sub>)R<sub>d</sub>の基であり；

式中、

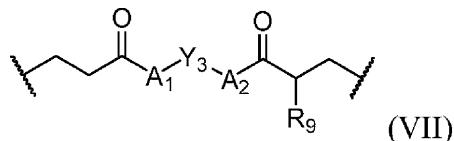
eは1、2、もしくは3であり；

R<sub>c</sub>およびR<sub>d</sub>は各々独立して水素、アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>であり；

cおよびdは各々独立して1、2、3、4、5、もしくは6であり；ならびに

繰り返し単位は分解性ジアシリルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシリル基は下記式を有し：

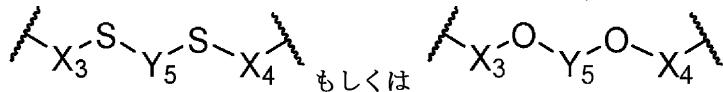


式中、

A<sub>1</sub>およびA<sub>2</sub>は各々独立して-O-もしくは-NR<sub>a</sub>-であり、式中、

R<sub>a</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>であり；

Y<sub>3</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



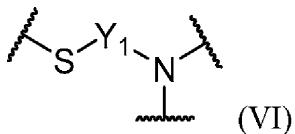
の基であり；

式中、

X<sub>3</sub>およびX<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

Y<sub>5</sub>は共有結合、アルカンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

$R_9$ はアルキル $(C_{1-8})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-8})$ であり；  
リンカー基は下記式を有し：



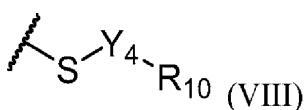
式中、

$Y_1$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、  
もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄  
原子の両方で分解性ジアシル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジア  
シル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つ  
の分解性ジアシル基を含み；ならびに

$n$ は、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基、末端基は下記式を有し：



式中、

$Y_4$ はアルカンジイル $(C_{1-18})$ またはアルカンジイル $(C_{1-18})$ 上の水素原子の1つもしく  
は複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で  
置換されているアルカンジイル $(C_{1-18})$ であり；

$R_{10}$ は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール $(C_{1-12})$ 、アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アル  
カンジイル $(C_{1-6})$ -ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)-アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)  
-ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ であり、式中、

$R_{11}$ は水素、アルキル $(C_{1-6})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-6})$ であり；

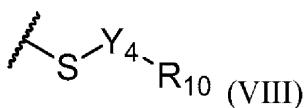
鎖中の最後の分解性ジアシルは末端基に結合されており；

$n$ は0、1、2、3、4、5、もしくは6である、

請求項1記載のデンドリマーまたは薬学的に許容されるその塩。

#### 【請求項4】

末端基は下記式：



によってさらに定義され、

式中、

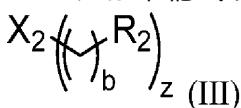
$Y_4$ はアルカンジイル $(C_{1-18})$ であり；および

$R_{10}$ は水素である、

請求項1～3のいずれか一項記載のデンドリマー。

#### 【請求項5】

コアは下記式によってさらに定義される：



式中、

$X_2$ はN(R<sub>5</sub>)<sub>y</sub>であり；

$R_5$ は水素もしくはアルキル $(C_{1-18})$ 、または置換アルキル $(C_{1-18})$ であり；ならびに  
 $y$ および $z$ の和が3であるという条件で、 $y$ は0、1、もしくは2であり；

$R_2$ はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジ

アルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>~12)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

bは1、2、3、4、5、もしくは6であり；ならびに

zおよびyの和が3であるという条件で、zは1、2、3である、

請求項1、2、および4のいずれか一項記載のデンドリマー。

【請求項6】

(i) X<sub>2</sub>はNであるか、

(ii) X<sub>2</sub>はNR<sub>5</sub>であり、式中、R<sub>5</sub>は水素もしくはアルキル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>であるか、

(iii) R<sub>5</sub>は水素もしくはメチルであるか、

(iv) zは3もしくは2であるか、

(v) R<sub>2</sub>はアミノ、アルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>~12)</sub>、置換アルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>~12)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>~12)</sub>もしくは置換ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>~12)</sub>であるか、

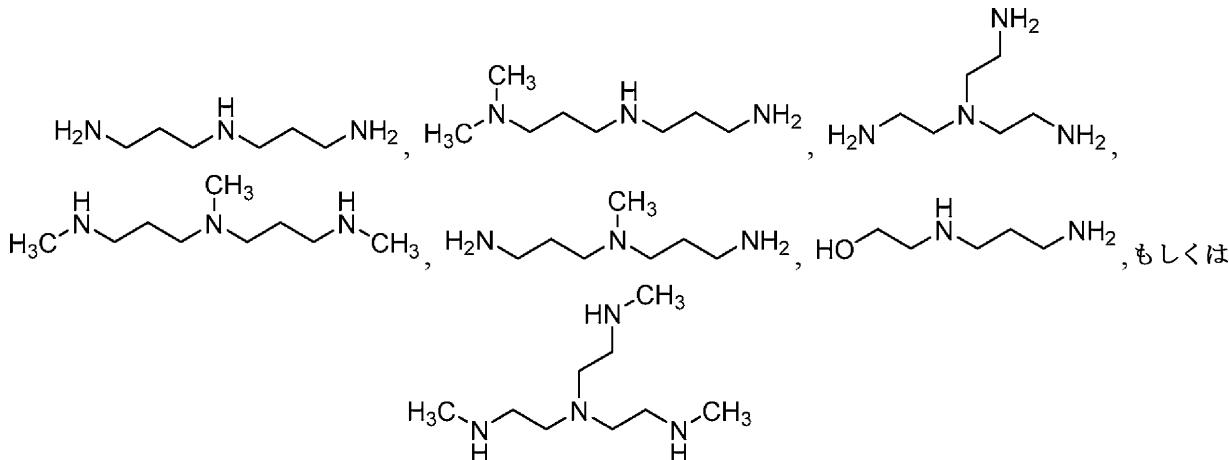
(vi) R<sub>2</sub>はメチルアミノもしくはジメチルアミノであるか、または

(vii) bは1、2、3、もしくは4である、

請求項5記載のデンドリマー。

【請求項7】

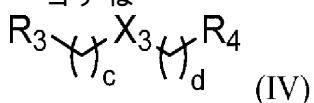
コアは



としてさらに定義される、請求項5または6記載のデンドリマー。

【請求項8】

コアは



としてさらに定義され、

式中、

X<sub>3</sub>は-NR<sub>6</sub>-であり、式中、R<sub>6</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>、-O-、もしくはアルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>、アルコキシジイル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>、ヘテロアレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>、ヘテロシクロアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

R<sub>3</sub>およびR<sub>4</sub>は各々独立してアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカブト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>~12)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>~12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：-(CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>N)<sub>e</sub>(R<sub>c</sub>)R<sub>d</sub>の基であり；

式中、

eは1、2、もしくは3であり；

R<sub>c</sub>およびR<sub>d</sub>は各々独立して水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~6)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~6)</sub>であり；

cおよびdは各々独立して1、2、3、4、5、もしくは6である、

請求項1、3、および4記載のデンドリマー。

【請求項9】

(i)  $X_3$  はアルキルアミノジイル $_{(C-8)}$  もしくは置換アルキルアミノジイル $_{(C-8)}$  であるか、

(ii)  $X_3$  は  $-\text{NHCH}_2\text{CH}_2\text{NH}-$  もしくは  $-\text{NHCH}_2\text{CH}_2\text{NHCH}_2\text{CH}_2\text{NH}-$  であるか、

(iii)  $X_3$  はヘテロシクロアルカンジイル $_{(C-8)}$  もしくは置換ヘテロシクロアルカンジイル $_{(C-8)}$  であるか、

(iv)  $X_3$  は  $N,N'$ -ピペラジンジイルであるか、

(v)  $R_3$  はアミノ、アルキルアミノ ( $C_{1-12}$ ) もしくは置換アルキルアミノ ( $C_{1-12}$ ) であるか

(vi) R<sub>3</sub> はメチルアミノであるか、

(vii) R<sub>4</sub> はアミノ、アルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub> もしくは置換アルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub> であるか、

(viii) R<sub>4</sub>はメチルアミノであるか、または

(ix)  $R_4$  は  $-(CH_2CH_2N)_e(R_c)R_d$  であり:

式中、

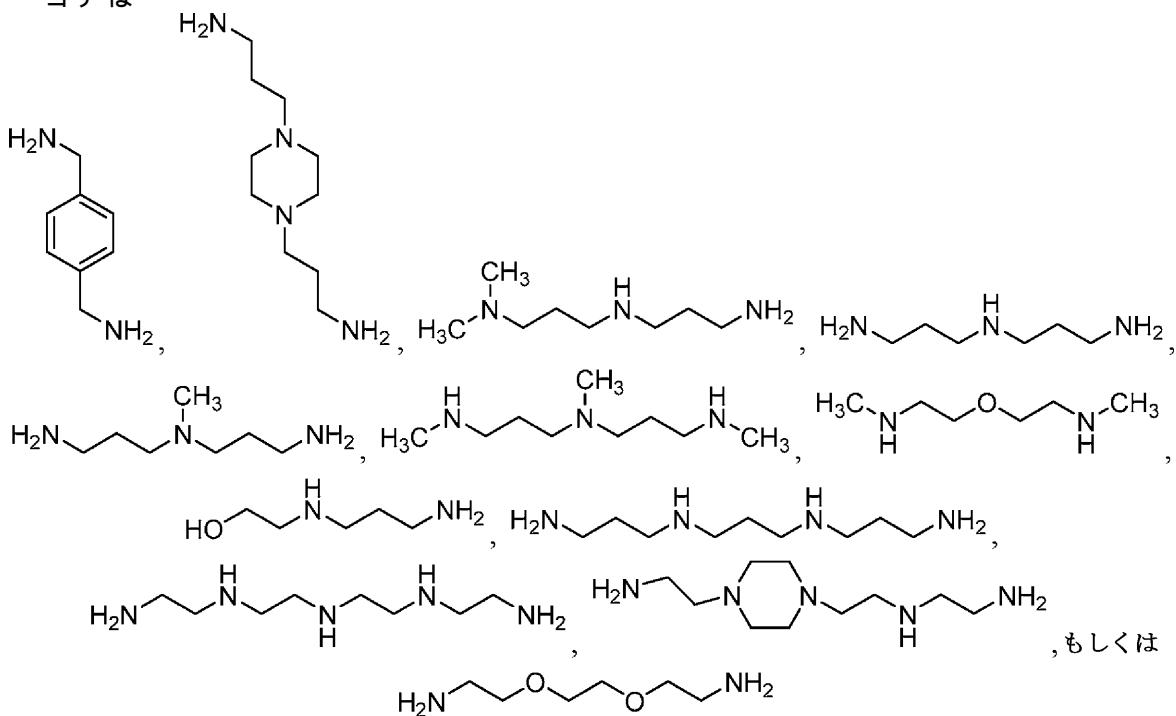
eは1、2、もしくは3であり；

$R_c$  および  $R_d$  は各々独立して水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~6)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~6)</sub>である

請求項8記載のデンドリマー。

【請求項 10】

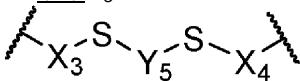
コアは



としてさらに定義される、請求項8または9記載のデンドリマー。

## 【請求項 11】

( i )  $Y_3$  は以下:

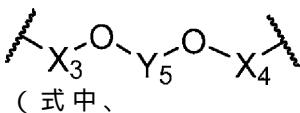


(式中、

$X_3$  および  $X_4$  はアルカンジイル $_{(C-12)}$ 、アルケンジイル $_{(C-12)}$ 、アレーンジイル $_{(C-12)}$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$\gamma_5$  は共有結合、アルカンジイル $_{(C_{1-12})}$ 、アルケンジイル $_{(C_{1-12})}$ 、アレーンジイル $_{(C_{1-12})}$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型である)であるか、

( i i )  $Y_3$  は以下:



X<sub>3</sub>およびX<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>2</sub>~12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>2</sub>~12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>2</sub>~12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

Y<sub>5</sub>は共有結合、アルカンジイル<sub>(C<sub>2</sub>~12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>2</sub>~12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>2</sub>~12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であるであるか、

(iii) A<sub>1</sub>は-0-もしくは-NH-であるか、

(iv) A<sub>2</sub>は-0-もしくは-NH-であるか、

(v) R<sub>9</sub>はアルキル<sub>(C<sub>2</sub>~8)</sub>であるか、

(vi) R<sub>9</sub>はメチルであるか、または

(vii) nは1、2、もしくは3である、

請求項1~10のいずれか一項記載のデンドリマー。

#### 【請求項12】

(A) 請求項1~11のいずれか一項記載のデンドリマー；および

(B) 核酸

を含む、組成物。

#### 【請求項13】

(i) 核酸はsiRNA、miRNA、pri-miRNA、メッセンジャーRNA (mRNA)、クラスター化して規則的な配置の短い回文配列リピート (cluster regularly interspaced short palindromic repeat) (CRISPR) 関連核酸、単一ガイドRNA (sgRNA)、CRISPR-RNA (crRNA)、トランスクレベラル活性化crRNA (tracrRNA)、プラスミドDNA (pDNA)、トランスファーRNA (tRNA)、アンチセンスオリゴヌクレオチド (ASO)、ガイドRNA、二本鎖DNA (dsDNA)、一本鎖DNA (ssDNA)、一本鎖RNA (ssRNA)、もしくは二本鎖RNA (dsRNA)であるか

(ii) 核酸は、siRNA、tRNA、もしくはCRISPRプロセスにおいて使用される核酸であるか、

(iii) デンドリマーおよび核酸は、約100:1~約1:5の重量比で存在するか、

(iv) 1つもしくは複数のヘルパー脂質をさらに含むか、または

(v) 1つもしくは複数のヘルパー脂質をさらに含み、ヘルパー脂質は、ステロイド、ステロイド誘導体、PEG脂質、もしくはリン脂質から選択される、

請求項12記載の組成物。

#### 【請求項14】

(A) 請求項12または13記載の組成物；および

(B) 薬学的に許容される担体

を含む、薬学的組成物。

#### 【請求項15】

請求項12~14のいずれか一項記載の組成物もしくは薬学的組成物の薬学的有効量を含む、患者における疾患もしくは障害を処置するための薬学的組成物。

#### 【手続補正2】

【補正対象書類名】明細書

【補正対象項目名】0035

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0035】

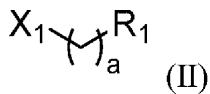
[本発明1001]

下記式のデンドリマー：

コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(1)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアは下記式を有し：

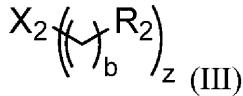


式中、

$X_1$ はアミノもしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ヘテロアリール<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはその置換型であり；

$R_1$ はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに  
aは1、2、3、4、5、もしくは6であり；あるいは

コアは下記式を有し：



式中、

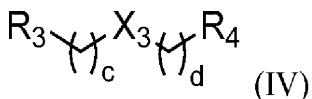
$X_2$ はN(R<sub>5</sub>)<sub>y</sub>であり；

$R_5$ は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-18</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-18</sub>)</sub>であり；ならびに  
yおよびzの和が3であるという条件で、yは0、1、もしくは2であり；

$R_2$ はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、  
ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；  
bは1、2、3、4、5、もしくは6であり；ならびに

zおよびyの和が3であるという条件で、zは1、2、3であり；あるいは

コアは下記式を有し：



式中、

$X_3$ は-NR<sub>6</sub>-であり、式中、R<sub>6</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、  
-O-、もしくはアルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、アルコキシジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、  
ヘテロアレーンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルカンジイル<sub>(C<sub>1-8</sub>)</sub>、またはこれら  
の基のいずれかの置換型であり；

$R_3$ およびR<sub>4</sub>は各々独立してアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアル  
キルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型  
；または式：-(CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>N)<sub>e</sub>(R<sub>c</sub>)R<sub>d</sub>の基であり；

式中、

eは1、2、もしくは3であり；

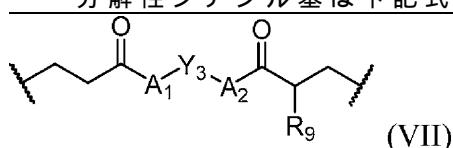
$R_c$ およびR<sub>d</sub>は各々独立して水素、アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>で  
あり；

cおよびdは各々独立して1、2、3、4、5、もしくは6であり；または

コアはアルキルアミン<sub>(C<sub>1-18</sub>)</sub>、ジアルキルアミン<sub>(C<sub>1-36</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルカン<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、  
もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

繰り返し単位は分解性ジアシリルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシリル基は下記式を有し：



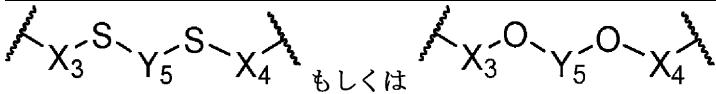
式中、

$A_1$ およびA<sub>2</sub>は各々独立して-O-もしくは-NR<sub>a</sub>-であり、式中、

$R_a$ は水素、アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1-6</sub>)</sub>であり；

$Y_3$ はアルカンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、

もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



の基であり；

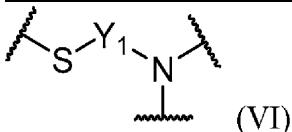
式中、

$X_3$ および $X_4$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$Y_5$ は共有結合、アルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

$R_9$ はアルキル $(C_{1-8})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-8})$ であり；

リンカー基は下記式を有し：



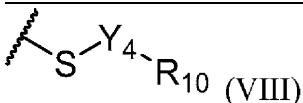
式中、

$Y_1$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄原子の両方で分解性ジアシル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジアシル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つの分解性ジアシル基を含み；ならびに

$n$ は、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基は下記式を有し：



式中、

$Y_4$ はアルカンジイル $(C_{1-18})$ またはアルカンジイル $(C_{1-18})$ 上の水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $(C_{1-18})$ であり；

$R_{10}$ は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール $(C_{1-12})$ 、アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アルカンジイル $(C_{1-6})$ -ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)-アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ であり、式中、

$R_{11}$ は水素、アルキル $(C_{1-6})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-6})$ であり；

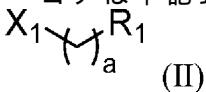
鎖中の最後の分解性ジアシルは末端基に結合されており；

$n$ は0、1、2、3、4、5、もしくは6である；

または薬学的に許容されるその塩。

[本発明1002]

コアは下記式を有し：



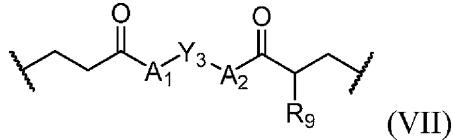
式中、

$X_1$ はアミノもしくはアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、ヘテロアリール $(C_{1-12})$ 、もしくはその置換型であり；

$R_1$ はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

aは1、2、3、4、5、もしくは6であり；ならびに  
繰り返し単位は分解性ジアシルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシル基は下記式を有し：

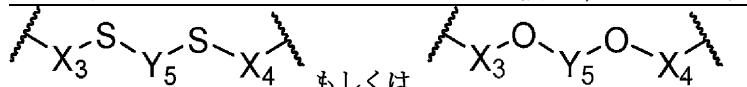


式中、

A<sub>1</sub>およびA<sub>2</sub>は各々独立して-O-もしくは-NR<sub>a</sub>-であり、式中、

R<sub>a</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-6)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-6)</sub>であり；

Y<sub>3</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、  
もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



の基であり；

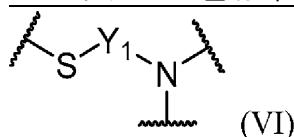
式中、

X<sub>3</sub>およびX<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、  
もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

Y<sub>5</sub>は共有結合、アルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、  
もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

R<sub>9</sub>はアルキル<sub>(C<sub>1</sub>-8)</sub>もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-8)</sub>であり；

リンカー基は下記式を有し：



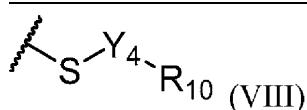
式中、

Y<sub>1</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、  
もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄  
原子の両方で分解性ジアシル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジア  
シル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つ  
の分解性ジアシル基を含み；ならびに

nは、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基、末端基は下記式を有し：



式中、

Y<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-18)</sub>またはアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-18)</sub>上の水素原子の1つもしく  
は複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で  
置換されているアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-18)</sub>であり；

R<sub>10</sub>は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、N-ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アル  
カジイル<sub>(C<sub>1</sub>-6)</sub>-ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、-C(O)-アルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、-C(O)  
-ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>であり、式中、

R<sub>11</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-6)</sub>もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-6)</sub>であり；

鎖中の最後の分解性ジアシルは末端基に結合されており；

nは0、1、2、3、4、5、もしくは6である、

本発明1001のデンドリマーまたは薬学的に許容されるその塩。

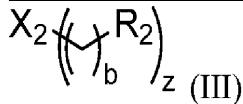
[本発明1003]

デンドリマーは下記式を有する：

コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(1)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアは下記式を有し：



式中、

X<sub>2</sub>はN(R<sub>5</sub>)<sub>y</sub>であり；

R<sub>5</sub>は水素もしくはアルキル<sub>(C<sub>1</sub>-8)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-18)</sub>であり；ならびに

yおよびzの和が3であるという条件で、yは0、1、もしくは2であり；

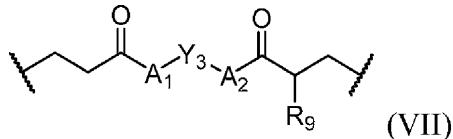
R<sub>2</sub>はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

bは1、2、3、4、5、もしくは6であり；ならびに

zおよびyの和が3であるという条件で、zは1、2、3であり；

繰り返し単位は分解性ジアシリルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシリル基は下記式を有し：



式中、

A<sub>1</sub>およびA<sub>2</sub>は各々独立して-O-もしくは-NR<sub>a</sub>-であり、式中、

R<sub>a</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-6)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-6)</sub>であり；

Y<sub>3</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



の基であり；

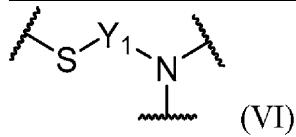
式中、

X<sub>3</sub>およびX<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

Y<sub>5</sub>は共有結合、アルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

R<sub>9</sub>はアルキル<sub>(C<sub>1</sub>-8)</sub>もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>-8)</sub>であり；

リンカー基は下記式を有し：



式中、

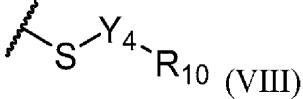
Y<sub>1</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>-12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄原子の両方で分解性ジアシリル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジア

シル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つの分解性ジアシリル基を含み；ならびに

$n$ は、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基、末端基は下記式を有し：



式中、

$Y_4$ はアルカンジイル $(C_{1-18})$ またはアルカンジイル $(C_{1-18})$ 上の水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $(C_{1-18})$ であり；

$R_{10}$ は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール $(C_{1-12})$ 、アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アルカンジイル $(C_{6-18})$ -ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)-アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ であり、

鎖中の最後の分解性ジアシリルは末端基に結合されており；

$n$ は0、1、2、3、4、5、もしくは6である、

本発明1001のデンドリマーまたは薬学的に許容されるその塩。

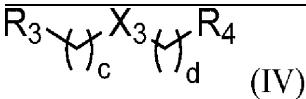
#### [本発明1004]

デンドリマーは下記式を有する：

コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(1)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアは下記式を有し：



式中、

$X_3$ は-NR<sub>6</sub>-であり、式中、R<sub>6</sub>は水素、アルキル $(C_{1-8})$ 、もしくは置換アルキル $(C_{1-8})$ 、-O-、もしくはアルキルアミノジイル $(C_{1-8})$ 、アルコキシジイル $(C_{1-8})$ 、アレーンジイル $(C_{1-8})$ 、ヘテロアレーンジイル $(C_{1-8})$ 、ヘテロシクロアルカンジイル $(C_{1-8})$ 、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$R_3$ および $R_4$ は各々独立してアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：-(CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>N)<sub>e</sub>(R<sub>c</sub>)R<sub>d</sub>の基であり；

式中、

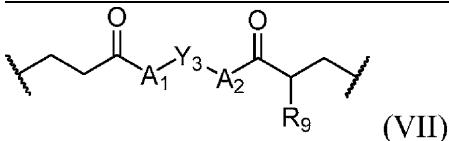
$e$ は1、2、もしくは3であり；

$R_c$ および $R_d$ は各々独立して水素、アルキル $(C_{1-6})$ 、もしくは置換アルキル $(C_{1-6})$ であり；

$c$ および $d$ は各々独立して1、2、3、4、5、もしくは6であり；ならびに

繰り返し単位は分解性ジアシリルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシリル基は下記式を有し：



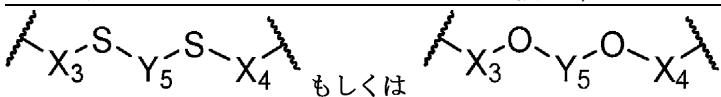
式中、

$A_1$ および $A_2$ は各々独立して-O-もしくは-NR<sub>a</sub>-であり、式中、

$R_a$ は水素、アルキル $(C_{1-6})$ 、もしくは置換アルキル $(C_{1-6})$ であり；

$Y_3$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、

もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



の基であり；

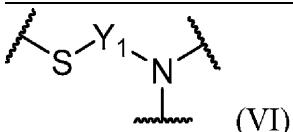
式中、

$X_3$ および $X_4$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$Y_5$ は共有結合、アルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

$R_9$ はアルキル $(C_{1-8})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-8})$ であり；

リンカー基は下記式を有し：



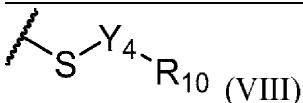
式中、

$Y_1$ はアルカンジイル $(C_{1-12})$ 、アルケンジイル $(C_{1-12})$ 、アレーンジイル $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄原子の両方で分解性ジアシル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジアシル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つの分解性ジアシル基を含み；ならびに

$n$ は、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基、末端基は下記式を有し：



式中、

$Y_4$ はアルカンジイル $(C_{1-18})$ またはアルカンジイル $(C_{1-18})$ 上の水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $(C_{1-18})$ であり；

$R_{10}$ は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール $(C_{1-12})$ 、アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アルカンジイル $(C_{1-6})$ -ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、-C(O)-アルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ であり、式中、

$R_{11}$ は水素、アルキル $(C_{1-6})$ もしくは置換アルキル $(C_{1-6})$ であり；

鎖中の最後の分解性ジアシルは末端基に結合されており；

$n$ は0、1、2、3、4、5、もしくは6である、

本発明1001のデンドリマーまたは薬学的に許容されるその塩。

[本発明1005]

デンドリマーは下記式を有する：

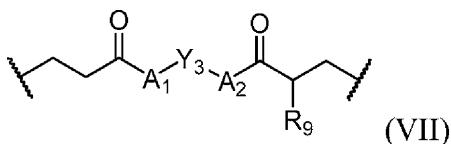
コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(I)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアはアルキルアミン $(C_{1-18})$ 、ジアルキルアミン $(C_{3-36})$ 、ヘテロシクロアルカン $(C_{1-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位は分解性ジアシルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシル基は下記式を有し：

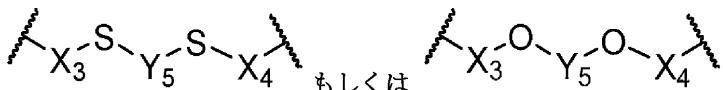


式中、

$A_1$  および  $A_2$  は各々独立して -O- もしくは  $-NR_a-$  であり、式中、

$R_a$  は水素、アルキル $(C_{-6})$ 、もしくは置換アルキル $(C_{-6})$ であり；

$Y_3$  はアルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：



の基であり；

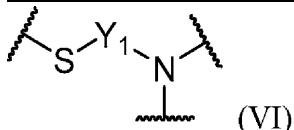
式中、

$X_3$  および  $X_4$  はアルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$Y_5$  は共有結合、アルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

$R_9$  はアルキル $(C_{-8})$ もしくは置換アルキル $(C_{-8})$ であり；

リンカー基は下記式を有し：



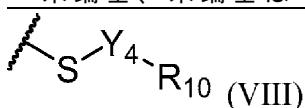
式中、

$Y_1$  はアルカンジイル $(C_{-12})$ 、アルケンジイル $(C_{-12})$ 、アレーンジイル $(C_{-12})$ 、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄原子の両方で分解性ジアシル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジアシル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つの分解性ジアシル基を含み；ならびに

$n$  は、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基、末端基は下記式を有し：



式中、

$Y_4$  はアルカンジイル $(C_{-18})$ またはアルカンジイル $(C_{-18})$ 上の水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $(C_{-18})$ であり；

$R_{10}$  は水素、カルボキシ、ヒドロキシ、もしくはアリール $(C_{-12})$ 、アルキルアミノ $(C_{-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{-12})$ 、N-ヘテロシクロアルキル $(C_{-12})$ 、-C(O)N(R<sub>11</sub>)-アルカンジイル $(C_{-6})$ -ヘテロシクロアルキル $(C_{-12})$ 、-C(O)-アルキルアミノ $(C_{-12})$ 、-C(O)-ジアルキルアミノ $(C_{-12})$ 、-C(O)-N-ヘテロシクロアルキル $(C_{-12})$ であり、式中、

$R_{11}$  は水素、アルキル $(C_{-6})$ もしくは置換アルキル $(C_{-6})$ であり；

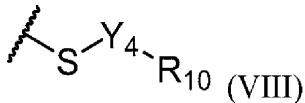
鎖中の最後の分解性ジアシルは末端基に結合されており；

$n$  は 0、1、2、3、4、5、もしくは 6 である、

本発明1001のデンドリマーまたは薬学的に許容されるその塩。

[本発明1006]

末端基は下記式：



によってさらに定義され、  
式中、

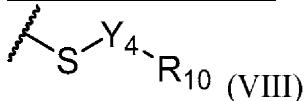
$\text{Y}_4$ はアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ または水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ であり；および

$\text{R}_{10}$ は水素である、

本発明1001～1005のいずれかのデンドリマー。

[本発明1007]

末端基は下記式：



によってさらに定義され、  
式中、

$\text{Y}_4$ はアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ であり；および

$\text{R}_{10}$ は水素である、

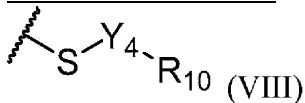
本発明1001～1006のいずれかのデンドリマー。

[本発明1008]

$\text{Y}_4$ はアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ である、本発明1001～1007のいずれかのデンドリマー。

[本発明1009]

末端基は下記式：



によってさらに定義され、  
式中、

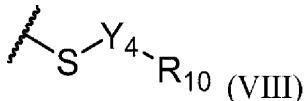
$\text{Y}_4$ はアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ または水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ であり；

$\text{R}_{10}$ はアルキルアミノ $_{(\text{C}_{1\sim 12})}$ 、ジアルキルアミノ $_{(\text{C}_{2\sim 12})}$ 、N-ヘテロシクロアルキル $_{(\text{C}_{1\sim 12})}$ である、

本発明1001～1005のいずれかのデンドリマー。

[本発明1010]

末端基は下記式：



によってさらに定義され、  
式中、

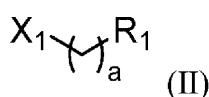
$\text{Y}_4$ はアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ または水素原子の1つもしくは複数が、-OH、-F、-Cl、-Br、-I、-SH、-OCH<sub>3</sub>、-OCH<sub>2</sub>CH<sub>3</sub>、-SCH<sub>3</sub>もしくは-OC(O)CH<sub>3</sub>で置換されているアルカンジイル $_{(\text{C}_{4\sim 18})}$ であり；

$\text{R}_{10}$ はヒドロキシである、

本発明1001～1005のいずれかのデンドリマー。

[本発明1011]

コアは下記式：



によってさらに定義され、式中、

$X_1$ はアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ジアルキルアミノ $(C_{1-12})$ 、ヘテロシクロアルキル $(C_{1-12})$ 、ヘテロアリール $(C_{1-12})$ 、もしくはその置換型であり；

R<sub>1</sub>はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)<sub>2</sub></sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；およびaは1、2、3、4、5、もしくは6である。

本発明1001～1002および1006～1010のいずれかのデンドリマー。

[本発明1012]

X<sub>1</sub>はジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>もしくは置換ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>である、本発明10  
11のデンドリマー。

[本発明1013]

X<sub>1</sub>はヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>もしくは置換ヘテロシクロアルキル<sub>(C<sub>1-12</sub>)</sub>である、本発明1011のデンドリマー。

[本発明1014]

X<sub>1</sub>は4-ピペリジニル、N-ピペリジニル、N-モルホリニル、N-ピロリジニル、2-ピロリジニル、N-ピペラジニルもしくはN-4-メチルピペラジニル(N-4-methylpiperadizinyl)である、本発明1013のデンドリマー。

[本発明1015]

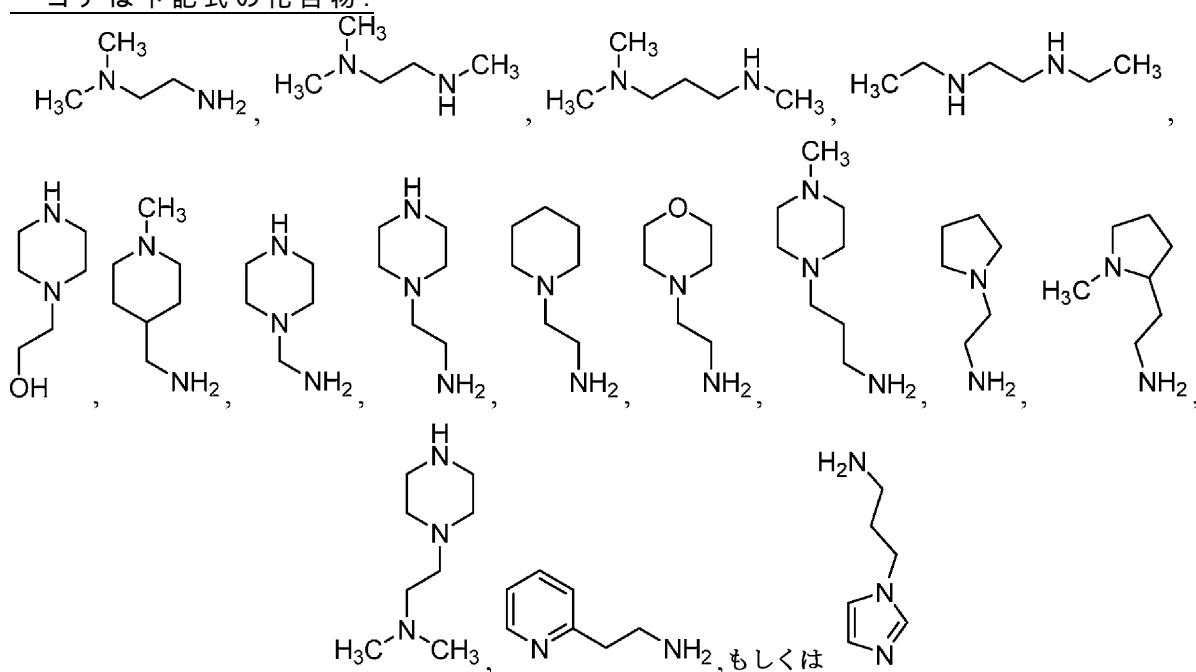
R<sub>1</sub>はアミノである、本発明1011～1014のいずれかのデンドリマー。

[本発明1016]

いは1, 2, 3, もしくは4である。李登明1911～1915のいずれかのテンドリュー。

[本登明1017]

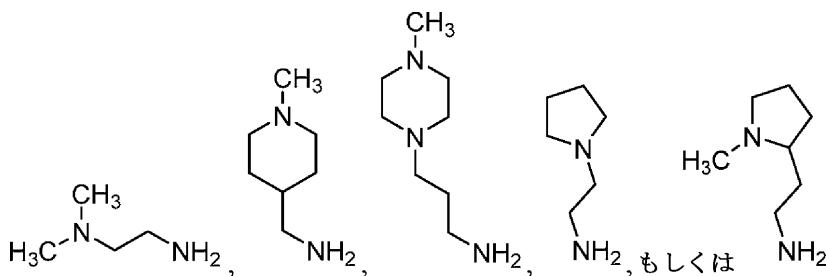
コアは下記式の化合物：



としてさらに定義される、本発明1011～1016のいずれかのデンドリマー。

[本発明1018]

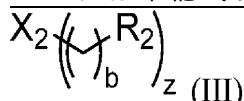
ヨアは



としてさらに定義される、本発明1017のデンドリマー。

[本発明1019]

コアは下記式によってさらに定義される：



式中、

$X_2$ は $N(R_5)_y$ であり；

$R_5$ は水素もしくはアルキル( $C_{1-8}$ )、または置換アルキル( $C_{1-8}$ )であり；ならびに $y$ および $z$ の和が3であるという条件で、 $y$ は0、1、もしくは2であり；

$R_2$ はアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカブト、もしくはアルキルアミノ( $C_{1-12}$ )、ジアルキルアミノ( $C_{1-12}$ )、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

$b$ は1、2、3、4、5、もしくは6であり；ならびに

$z$ および $y$ の和が3であるという条件で、 $z$ は1、2、3である、

本発明1001、1003、および1006～1010のいずれかのデンドリマー。

[本発明1020]

$X_2$ はNである、本発明1019のデンドリマー。

[本発明1021]

$X_2$ は $NR_5$ であり、式中、 $R_5$ は水素もしくはアルキル( $C_{1-8}$ )である、本発明1019のデンドリマー。

[本発明1022]

$R_5$ は水素である、本発明1021のデンドリマー。

[本発明1023]

$R_5$ はメチルである、本発明1021のデンドリマー。

[本発明1024]

$z$ は3である、本発明1019または1020のデンドリマー。

[本発明1025]

$z$ は2である、本発明1019および1021～1023のいずれかのデンドリマー。

[本発明1026]

$R_2$ はアミノである、本発明1019～1025のいずれかのデンドリマー。

[本発明1027]

$R_2$ はアルキルアミノ( $C_{1-12}$ )もしくは置換アルキルアミノ( $C_{1-12}$ )である、本発明1019～1025のいずれかのデンドリマー。

[本発明1028]

$R_2$ はメチルアミノである、本発明1027のデンドリマー。

[本発明1029]

$R_2$ はジアルキルアミノ( $C_{1-12}$ )もしくは置換ジアルキルアミノ( $C_{1-12}$ )である、本発明1019～1025のいずれかのデンドリマー。

[本発明1030]

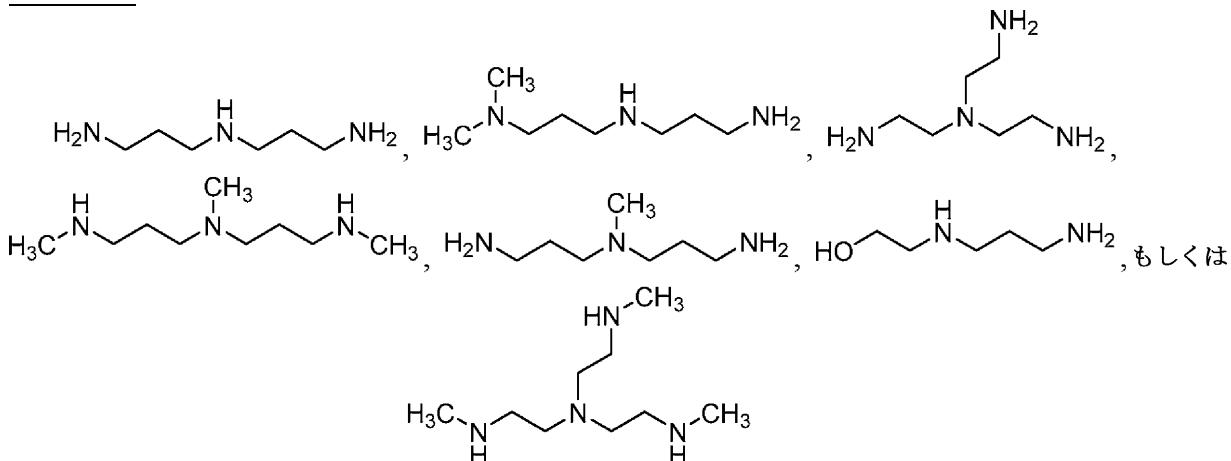
$R_2$ はジメチルアミノである、本発明1029のデンドリマー。

[本発明1031]

$b$ は1、2、3、もしくは4である、本発明1019～1030のいずれかのデンドリマー。

[本発明1032]

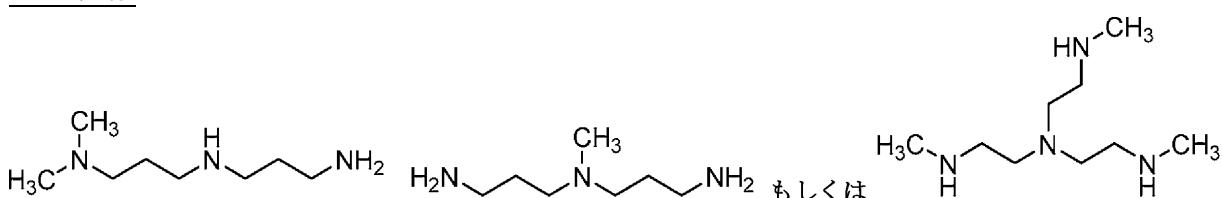
コアは



としてさらに定義される、本発明1019～1031のいずれかのデンドリマー。

[本発明1033]

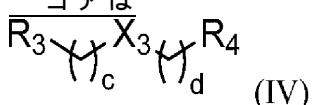
コアは



としてさらに定義される、本発明1032のデンドリマー。

[本発明1034]

コアは



としてさらに定義され、

式中、

$\text{X}_3$ は-NR<sub>6</sub>-であり、式中、R<sub>6</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、-O-、もしくはアルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、アルコキシジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、ヘテロアレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、ヘテロシクロアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

R<sub>3</sub>およびR<sub>4</sub>は各々独立してアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型；または式：-(CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>N)<sub>e</sub>(R<sub>c</sub>)R<sub>d</sub>の基であり；

式中、

eは1、2、もしくは3であり；

R<sub>c</sub>およびR<sub>d</sub>は各々独立して水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～6)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～6)</sub>であり；

cおよびdは各々独立して1、2、3、4、5、もしくは6である、

本発明1001、1004、および1006～1010のいずれかのデンドリマー。

[本発明1035]

$\text{X}_3$ はアルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>もしくは置換アルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>である、本発明1034のデンドリマー。

[本発明1036]

$\text{X}_3$ は-NHCH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>NH-もしくは-NHCH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>NHCH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>NH-である、本発明1035のデンドリマー。

[本発明1037]

$\text{X}_3$ はヘテロシクロアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>もしくは置換ヘテロシクロアルカンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>である、本発明1034のデンドリマー。

[本発明1038]

X<sub>3</sub>はN,N'-ピペラジンジイルである、本発明1037のデンドリマー。

[本発明1039]

R<sub>3</sub>はアミノである、本発明1034～1038のいずれかのデンドリマー。

[本発明1040]

R<sub>3</sub>はアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>もしくは置換アルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>である、本発明1034～1038のいずれかのデンドリマー。

[本発明1041]

R<sub>3</sub>はメチルアミノである、本発明1040のデンドリマー。

[本発明1042]

R<sub>4</sub>はアミノである、本発明1034～1041のいずれかのデンドリマー。

[本発明1043]

R<sub>4</sub>はアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>もしくは置換アルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>である、本発明1034～1041のいずれかのデンドリマー。

[本発明1044]

R<sub>4</sub>はメチルアミノである、本発明1043のデンドリマー。

[本発明1045]

R<sub>4</sub>は-(CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>N)<sub>e</sub>(R<sub>c</sub>)R<sub>d</sub>であり：

式中、

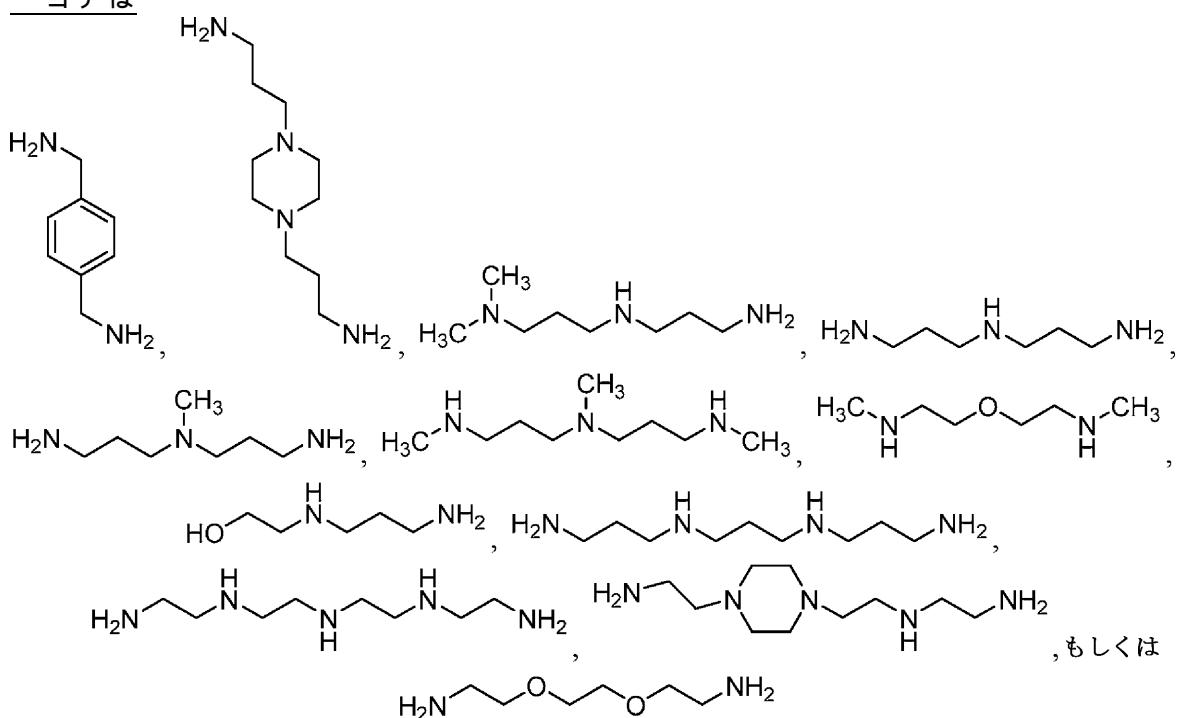
eは1、2、もしくは3であり；

R<sub>c</sub>およびR<sub>d</sub>は各々独立して水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～6)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～6)</sub>である

、本発明1034～1041のいずれかのデンドリマー。

[本発明1046]

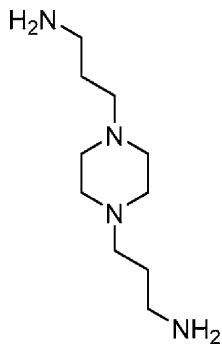
コアは



としてさらに定義される、本発明1034～1045のいずれかのデンドリマー。

[本発明1047]

コアは



としてさらに定義される、本発明1046のデンドリマー。

[本発明1048]

コアはアルキルアミン<sub>(C<sub>1~18</sub>)</sub>、ジアルキルアミン<sub>(C<sub>3~36</sub>)</sub>、ヘテロシクロアルカン<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型である、本発明1001および1005~1010のいずれかのデンドリマー。

[本発明1049]

コアはオクチルアミン、デシルアミン、ドデシルアミン、テトラデシルアミン、ヘキサデシルアミン、オクタデシルアミン、N-メチル、N-ドデシルアミン、ジオクチルアミン、ジデシルアミン、もしくは4-N-メチルピペラジニルである、本発明1048のデンドリマー。

[本発明1050]

Y<sub>1</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1~8</sub>)</sub>もしくは置換アルカンジイル<sub>(C<sub>1~8</sub>)</sub>である、本発明1001~1049のいずれかのデンドリマー。

[本発明1051]

Y<sub>1</sub>は-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>-である、本発明1050のデンドリマー。

[本発明1052]

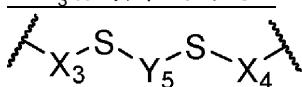
Y<sub>3</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1~8</sub>)</sub>もしくは置換アルカンジイル<sub>(C<sub>1~8</sub>)</sub>である、本発明1001~1053のいずれかのデンドリマー。

[本発明1053]

Y<sub>3</sub>は-CH<sub>2</sub>CH<sub>2</sub>-である、本発明1052のデンドリマー。

[本発明1054]

Y<sub>3</sub>は以下である：

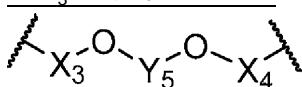


式中、

X<sub>3</sub>およびX<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

Y<sub>5</sub>は共有結合、アルカンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；または

Y<sub>3</sub>は以下である：



式中、

X<sub>3</sub>およびX<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

Y<sub>5</sub>は共有結合、アルカンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アルケンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1~12</sub>)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型である、

本発明1001~1051のいずれかのデンドリマー。

[本発明1055]

A<sub>1</sub>は-O-もしくは-NH-である、本発明1001~1054のいずれかのデンドリマー。

[本発明1056]

A<sub>2</sub>は-O-もしくは-NH-である、本発明1001~1055のいずれかのデンドリマー。

[本発明1057]

R<sub>9</sub>はアルキル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>である、本発明1001~1056のいずれかのデンドリマー。

[本発明1058]

R<sub>9</sub>はメチルである、本発明1057のデンドリマー。

[本発明1059]

nは1、2、もしくは3である、本発明1001~1058のいずれかのデンドリマー。

[本発明1060]

(A) 本発明1001~1059のいずれかのデンドリマー；および

(B) 核酸

を含む、組成物。

[本発明1061]

核酸はsiRNA、miRNA、pri-miRNA、メッセンジャーRNA (mRNA)、クラスター化して規則的な配置の短い回文配列リピート (cluster regularly interspaced short palindromic repeat) (CRISPR) 関連核酸、単一ガイドRNA (sgRNA)、CRISPR-RNA (crRNA)、トランスクレア RNA (tracrRNA)、プラスミドDNA (pDNA)、トランスクレアRNA (tRNA)、アンチセンスオリゴヌクレオチド (ASO)、ガイドRNA、二本鎖DNA (dsDNA)、一本鎖DNA (ssDNA)、一本鎖RNA (ssRNA)、および二本鎖RNA (dsRNA) である、本発明1060の組成物。

[本発明1062]

核酸は、siRNA、tRNA、もしくはCRISPRプロセスにおいて使用される核酸である、本発明1061の組成物。

[本発明1063]

デンドリマーおよび核酸は、約100:1~約1:5の重量比で存在する、本発明1060~1062のいずれかの組成物。

[本発明1064]

1つもしくは複数のヘルパー脂質をさらに含む、本発明1060~1063のいずれかの組成物。

[本発明1065]

ヘルパー脂質は、ステロイド、ステロイド誘導体、PEG脂質、もしくはリン脂質から選択される、本発明1064の組成物。

[本発明1066]

ヘルパー脂質は、ステロイドもしくはステロイド誘導体である、本発明1065の組成物。

[本発明1067]

ステロイドはコレステロールである、本発明1065の組成物。

[本発明1068]

ステロイドもしくはステロイド誘導体およびデンドリマーは、約10:1~約1:20のモル比で存在する、本発明1066の組成物。

[本発明1069]

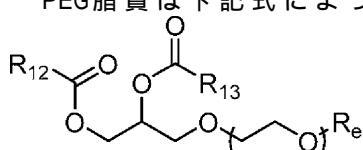
ヘルパー脂質はPEG脂質である、本発明1065の組成物。

[本発明1070]

PEG脂質はPEG化ジアシルグリセロールである、本発明1069の組成物。

[本発明1071]

PEG脂質は下記式によってさらに定義され：



式中、

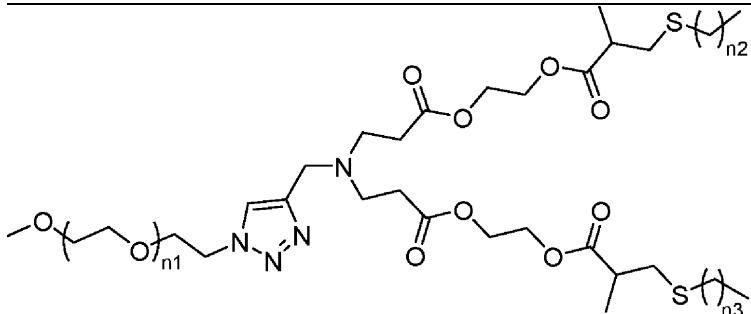
R<sub>12</sub>およびR<sub>13</sub>は各々独立してアルキル<sub>(C<sub>1</sub>~24)</sub>、アルケニル<sub>(C<sub>1</sub>~24)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

R<sub>e</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>~8)</sub>であり；および

xは1～250である、  
本発明1070の組成物。

[本発明1072]

PEG脂質はジミリストイル-sn-グリセロールもしくは下記式の化合物である：



式中、

n<sub>1</sub>は5～250であり；ならびに

n<sub>2</sub>およびn<sub>3</sub>は各々独立して2～25である、

本発明1069の組成物。

[本発明1073]

PEG脂質およびデンドリマーは、約1:1～約1:250のモル比で存在する、本発明1069の組成物。

[本発明1074]

ヘルパー脂質はリン脂質である、本発明1065の組成物。

[本発明1075]

リン脂質は1,2-ジステアロイル-sn-グリセロ-3-ホスホコリン(DSPC)もしくは1,2-ジオレオイル-sn-グリセロ-3-ホスホエタノールアミン(DOPE)である、本発明1065の組成物。

[本発明1076]

リン脂質およびデンドリマーは、約10:1～約1:20のモル比で存在する、本発明1074の組成物。

[本発明1077]

デンドリマー、核酸、および1つもしくは複数のヘルパー脂質から本質的になる、本発明1060～1076のいずれかの組成物。

[本発明1078]

(A) 本発明1060～1077のいずれかの組成物；および

(B) 薬学的に許容される担体

を含む、薬学的組成物。

[本発明1079]

薬学的に許容される担体は、溶媒もしくは溶液である、本発明1078の薬学的組成物。

[本発明1080]

経口的に、脂肪内に(intraadiposally)、動脈内に、関節内に、頭蓋内に、皮内に、病変内に、筋肉内に、鼻腔内に、眼内に、心膜内に、腹腔内に、胸膜内に、前立腺内に、直腸内に、くも膜下腔内に、気管内に、腫瘍内に、臍帶内に、臍内に、静脈内に、膀胱内に、硝子体内に、リポソーム的に、局所的に、粘膜的に、非経口的に、直腸的に、結膜下に、皮下に、舌下に、局所に、経頸的に(transbuccally)、経皮的に、経臍的に、クリーム中で、脂質組成物中で、カテーテルを介して、洗浄を介して、持続注入を介して、注入を介して、吸入を介して、注射を介して、局所送達を介して、もしくは限局性かん流を介して投与するために製剤化される、本発明1078または1079の薬学的組成物。

[本発明1081]

静脈内もしくは動脈内注射のために製剤化される、本発明1080の薬学的組成物。

[本発明1082]

単位用量として製剤化される、本発明1078～1081のいずれかの薬学的組成物。

[本発明1083]

核酸を細胞に送達する段階を含む遺伝子の発現を調節する方法であって、細胞への核酸の取り込みを引き起こすのに十分な条件の下で本発明1060～1082のいずれかの組成物もしくは薬学的組成物と細胞を接触させる段階を含む、方法。

[本発明1084]

細胞をインビトロでもしくはエクスピボで接触させる、本発明1083の方法。

[本発明1085]

細胞をインビボで接触させる、本発明1083の方法。

[本発明1086]

遺伝子発現の調節は、疾患もしくは障害を処置するのに十分である、本発明1083～1085のいずれかの方法。

[本発明1087]

疾患もしくは障害はがんである、本発明1086の方法。

[本発明1088]

本発明1060～1082のいずれかの組成物もしくは薬学的組成物の薬学的有効量を、それを必要とする患者に投与する段階を含む、患者における疾患もしくは障害を処置する方法。

[本発明1089]

疾患もしくは障害はがんである、本発明1088の方法。

[本発明1090]

患者に1つもしくは複数のさらなるがん療法を投与する段階をさらに含む、本発明1088または1089の方法。

[本発明1091]

がん療法は、化学療法化合物、外科手術、放射線療法、もしくは免疫療法である、本発明1090の方法。

[本発明1092]

組成物もしくは薬学的組成物は、1回患者に投与される、本発明1088～1091のいずれかの方法。

[本発明1093]

組成物もしくは薬学的組成物は2回もしくはそれ以上の回数、患者に投与される、本発明1088～1091のいずれかの方法。

[本発明1094]

患者は哺乳動物である、本発明1088～1093のいずれかの方法。

[本発明1095]

患者はヒトである、本発明1094の方法。

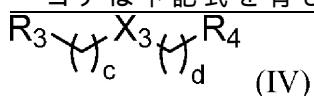
[本発明1096]

下記式のデンドリマー：

コア-(繰り返し単位)<sub>n</sub>-末端基(1)

式中、1つもしくは複数の水素原子をコアから除去して該原子を繰り返し単位で置換することによって、コアは、繰り返し単位に連結され、かつ

コアは下記式を有し：



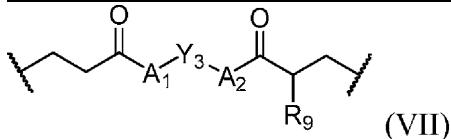
式中、

X<sub>3</sub>は-NR<sub>6</sub>-であり、式中、R<sub>6</sub>は水素、アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、-O-、もしくはアルキルアミノジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、アルコキシジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、アレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、ヘテロアレーンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、ヘテロシクロアルケンジイル<sub>(C<sub>1</sub>～8)</sub>、またはこれらの基のいずれかの置換型であり；

R<sub>3</sub>およびR<sub>4</sub>は各々独立してアミノ、ヒドロキシ、もしくはメルカプト、もしくはアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>、ジアルキルアミノ<sub>(C<sub>1</sub>～12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；

cおよびdは各々独立して1、2、3、4、5、もしくは6であり；または繰り返し単位は分解性ジアシルおよびリンカーを含み；

分解性ジアシル基は下記式を有し：



式中、

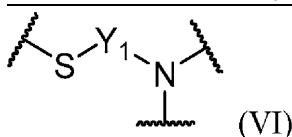
A<sub>1</sub>およびA<sub>2</sub>は各々独立して-O-もしくは-NR<sub>a</sub>-であり、式中、

R<sub>a</sub>は水素、アルキル<sub>(C-6)</sub>、もしくは置換アルキル<sub>(C-6)</sub>であり；

Y<sub>3</sub>はアルカンジイル<sub>(C-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C-12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

R<sub>9</sub>はアルキル<sub>(C-8)</sub>もしくは置換アルキル<sub>(C-8)</sub>であり；

リンカー基は下記式を有し：



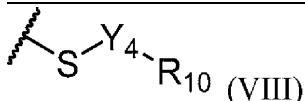
式中、

Y<sub>1</sub>はアルカンジイル<sub>(C-12)</sub>、アルケンジイル<sub>(C-12)</sub>、アレーンジイル<sub>(C-12)</sub>、もしくはこれらの基のいずれかの置換型であり；ならびに

繰り返し単位がリンカー基を含む場合、リンカー基はリンカー基の窒素原子および硫黄原子の両方で分解性ジアシル基に結合しており、繰り返し単位中の第1の基は分解性ジアシル基であり、各リンカー基について、隣の基は、リンカー基の窒素原子に結合した2つの分解性ジアシル基を含み；ならびに

nは、繰り返し単位中に存在するリンカー基の数であり；ならびに

末端基は下記式を有し：



式中、

Y<sub>4</sub>はアルカンジイル<sub>(C-18)</sub>であり；ならびに

R<sub>10</sub>は水素であり；

鎖中の最後の分解性ジアシルは末端基に結合されており；

nは0、1、2、3、4、5、もしくは6である；

または薬学的に許容されるその塩。

本開示の他の目的、特徴および利点は、以下の詳細な説明から明らかになるであろう。しかしながら、本発明の特定の態様を示すものの、詳細な説明および具体的な実施例は、この詳細な説明から当業者には本発明の趣旨および範囲内のさまざまな変更および修正が明らかになるものと思われる所以、実例としてのみ与えられたものであると理解されるべきである。特定の化合物がある特定の一般的な式に帰されているからといって、それが別の一般的な式にも属しうることを意味するものではないことに留意されたい。