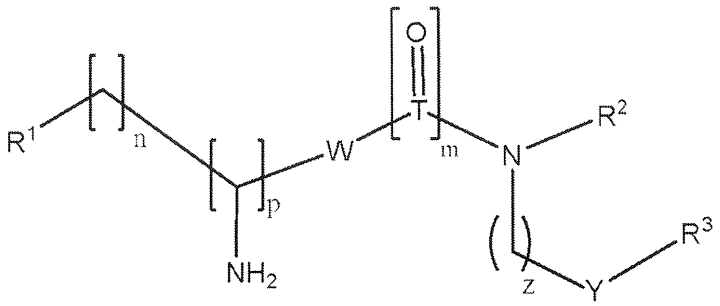
【公報種別】特許法第１７条の２の規定による補正の掲載
【部門区分】第３部門第２区分
【発行日】令和2年12月3日(2020.12.3)

【公表番号】特表2020-512272(P2020-512272A)
【公表日】令和2年4月23日(2020.4.23)
【年通号数】公開・登録公報2020-016
【出願番号】特願2019-522244(P2019-522244)
【国際特許分類】
Ｃ０７Ｃ 243/14 (2006.01)
Ｃ０７Ｃ 243/34 (2006.01)
Ｃ０７Ｃ 239/22 (2006.01)
Ｃ０７Ｃ 229/12 (2006.01)
Ａ６１Ｋ 47/18 (2006.01)
Ａ６１Ｋ 45/00 (2006.01)
Ａ６１Ｋ 48/00 (2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/7088 (2006.01)
Ａ６１Ｐ 29/00 (2006.01)
Ａ６１Ｐ 31/00 (2006.01)
Ａ６１Ｐ 35/00 (2006.01)
Ａ６１Ｐ 37/06 (2006.01)
Ａ６１Ｐ 43/00 (2006.01)
【ＦＩ】
Ｃ０７Ｃ 243/14
Ｃ０７Ｃ 243/34
Ｃ０７Ｃ 239/22
Ｃ０７Ｃ 229/12
Ａ６１Ｋ 47/18
Ａ６１Ｋ 45/00
Ａ６１Ｋ 48/00
Ａ６１Ｋ 31/7088
Ａ６１Ｐ 29/00
Ａ６１Ｐ 31/00
Ａ６１Ｐ 35/00
Ａ６１Ｐ 37/06
Ａ６１Ｐ 43/00 １２１

【手続補正書】
【提出日】令和2年10月23日(2020.10.23)
【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】
次の構造：
【化１】
$$-W-(T=O)_m-X-(CH_2)_z-Y-$$

（式中、ＸとＹは各々独立してＯ、Ｎ又はＮＨであり、ＸとＹの両方がＯになることはなく、
Ｗは結合、Ｏ、ＮＨ又はＳであり、
ＴはＣ又はＳであり、
ｍは０又は１であり、
ｚは０又は２である）で表される官能基を含むカチオン性脂質であって、
前記官能基は少なくとも１種の飽和又は不飽和脂肪酸残基に結合している、カチオン性脂質。
【請求項２】
式（Ｉ）：
【化２】



（Ｉ）

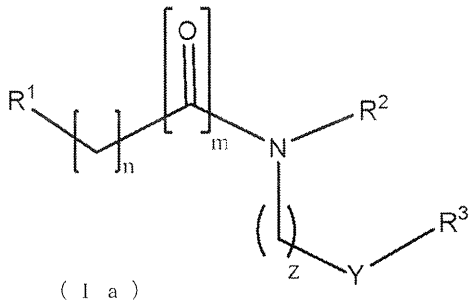
（式中、
ＹはＯ又はＮＨであり、
ＴはＣ又はＳであり、
Ｗは結合、Ｏ、ＮＨ又はＳであり、
R^1は、
（ａ）NR^4R^5（R^4とR^5は各々独立してC_1－C_4アルキルであるか、又はR^4とR^5はそれらが結合している窒素と共に５員若しくは６員の複素環若しくは芳香族複素環を形成し、必要に応じてＯ、Ｎ及びＳから成る群から選択される１種以上の更なるヘテロ原子を含むか、又はNR^4R^5はグアニジン基（－ＮＨＣ（＝ＮＨ）NH_2）を表す）、
（ｂ）天然又は非天然アミノ酸の側鎖、及び
（ｃ）Ｏ、Ｎ及びＳから成る群から選択される１種以上のヘテロ原子を含む５員又は６員の複素環又は芳香族複素環から成る群から選択され、
R^2とR^3は、
（ａ）C_{10}－C_{22}アルキル、
（ｂ）C_{10}－C_{22}アルケニル、
（ｃ）C_{10}－C_{22}アルキニル、
（ｄ）C_4－C_{10}アルキレン－Ｚ－C_4－C_{22}アルキル、及び
（ｅ）C_4－C_{10}アルキレン－Ｚ－C_4－C_{22}アルケニルから成る群から選択され、
Ｚは－Ｏ－Ｃ（＝Ｏ）－、－Ｃ（＝Ｏ）－Ｏ－又は－Ｏ－であり、
ｎは０、１、２、３、４、５又は６であり、
ｍは０又は１であり、
ｐは０又は１であり、
ｚは０又は２である）の構造で表され、
その塩、水和物、溶媒和物、多形体、光学異性体、幾何異性体、鏡像異性体、ジアステレオマー及びその混合物を含む、請求項１に記載のカチオン性脂質。
【請求項３】
ｍは０である；または
ｍは１である；または
ｐは０である；または

ｐは１である；または
ｍは０であり、ｐは０である；または
ｍは１であり、ｐは０である；または
ｚは０である；または
ｚは２である；または
ＴはＣである；または
Ｗは結合である；または
Ｒ^{1}はＮＲ^{4}Ｒ^{5}である、
請求項２に記載のカチオン性脂質。

【請求項４】

ｐは０であり、Ｗは結合であり、ＴはＣであり、化合物は式（Ｉａ）：

【化３】



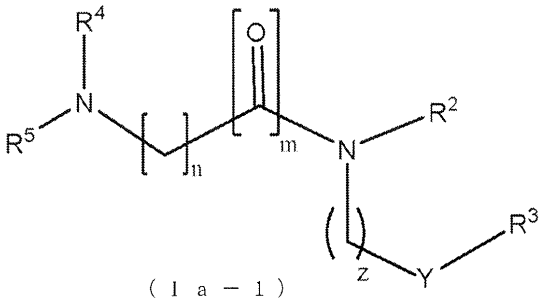
（Ｉａ）

（式中、Ｒ^{1}、Ｒ^{2}、Ｒ^{3}、Ｙ、ｍ、ｎ及びｚは請求項２で定義した通りである；または
ｍは０である；または
ｍは１である；または
ｚは０である；または
Ｒ^{2}とＲ^{3}は各々独立してＣ$_{14}$－Ｃ$_{20}$アルキル又はＣ$_{14}$－Ｃ$_{20}$アルケニルである；または
Ｒ^{2}とＲ^{3}は各々独立してＣ$_{4}$－Ｃ$_{10}$アルキレン－Ｚ－Ｃ$_{4}$－Ｃ$_{22}$アルキル又はＣ$_{4}$－Ｃ$_{10}$アルキレン－Ｚ－Ｃ$_{4}$－Ｃ$_{22}$アルケニルであり、Ｚは－Ｏ－Ｃ（＝Ｏ）－、－Ｃ（＝Ｏ）－Ｏ－又は－Ｏ－である；または
ＹはＯである；または
ＹはＮＨである）の構造で表される、
請求項２に記載のカチオン性脂質。

【請求項５】

Ｒ^{1}はＮＲ^{4}Ｒ^{5}であり、化合物は式（Ｉａ－１）：

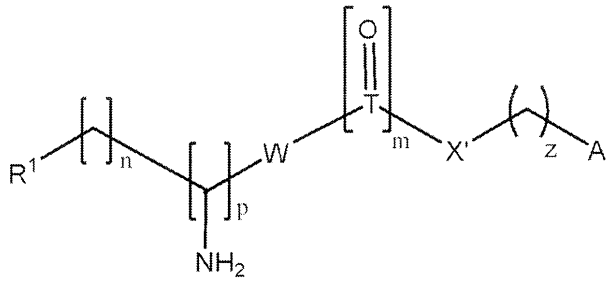
【化４】



（Ｉａ－１）

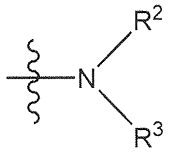
（式中、Ｒ^{2}、Ｒ^{3}、Ｒ^{4}、Ｒ^{5}、Ｙ、ｍ、ｎ及びｚは請求項２で定義された通りである；または
Ｒ^{4}とＲ^{5}は各々ＣＨ$_{3}$であるか、又はＲ^{4}とＲ^{5}はそれらが結合している窒素と共に、ピロリジニル、ピペリジニル及びピペラジニルから成る群から選択される複素環を形

成し、これらの各々は必要に応じてアルキルで置換されている）の構造で表される、
請求項４に記載のカチオン性脂質。
【請求項６】
式（ＩＩ）：
【化５】

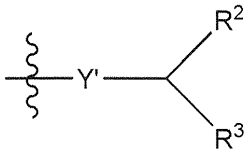


（ＩＩ）

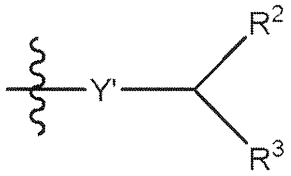
（式中、Ａは
【化６】



又は
【化７】

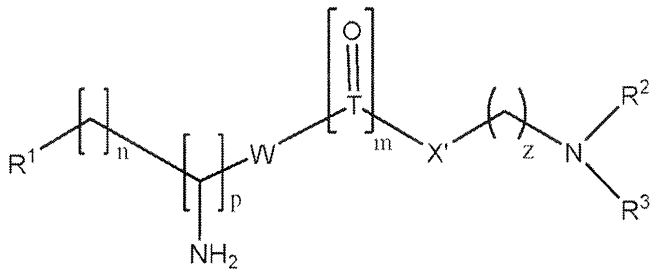


であり、
Ｘ’はＯ又はＮＨであり、
Ｙ’はＯ又はＮＨであり、
Ａが
【化８】



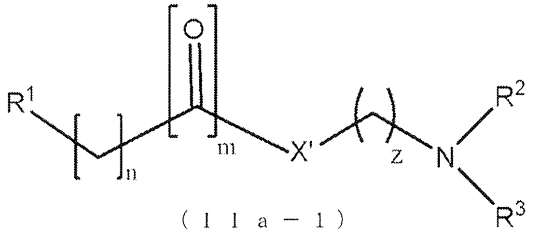
の場合には、
Ｘ’とＹ’の両方がＯになることはなく、
ＴはＣ又はＳであり、
Ｗは結合、Ｏ、ＮＨ又はＳであり、
Ｒ^{1}は、
（ａ）ＮＲ^{4}Ｒ^{5}（Ｒ^{4}とＲ^{5}は各々独立してＣ$_{1}$－Ｃ$_{4}$アルキルであるか、又はＲ^{4}とＲ^{5}はそれらが結合している窒素と共に５員若しくは６員の複素環若しくは芳香族複素環を形成し、必要に応じてＯ、Ｎ及びＳから成る群から選択される１種以上の更なるヘテロ原子を含むか、又はＮＲ^{4}Ｒ^{5}はグアニジン基（－ＮＨＣ（＝ＮＨ）ＮＨ$_{2}$）を表す）、
（ｂ）天然又は非天然アミノ酸の側鎖、及び
（ｃ）Ｏ、Ｎ及びＳから成る群から選択される１種以上のヘテロ原子を含む５員又は６員の複素環又は芳香族複素環から成る群から選択され、

R^2とR^3は、
（ａ）C_{10}－C_{22}アルキル、
（ｂ）C_{10}－C_{22}アルケニル、
（ｃ）C_{10}－C_{22}アルキニル、
（ｄ）C_4－C_{10}アルキレン－Ｚ－C_4－C_{22}アルキル、及び
（ｅ）C_4－C_{10}アルキレン－Ｚ－C_4－C_{22}アルケニルから成る群から選択され、
Ｚは－Ｏ－Ｃ（＝Ｏ）－、－Ｃ（＝Ｏ）－Ｏ－又は－Ｏ－であり、
ｎは０、１、２、３、４、５又は６であり、
ｍは０又は１であり、
ｐは０又は１であり、
ｚは０又は２である）の構造で表され、
その塩、水和物、溶媒和物、多形体、光学異性体、幾何異性体、鏡像異性体、ジアステレオマー及びその混合物を含む、請求項１に記載のカチオン性脂質。
【請求項７】
ｍは０である；または
ｍは１である；または
ｚは０である；または
ｚは２である；または
ｐは０である、
請求項６に記載のカチオン性脂質。
【請求項８】
式（ＩＩａ）：
【化９】



（ＩＩａ）

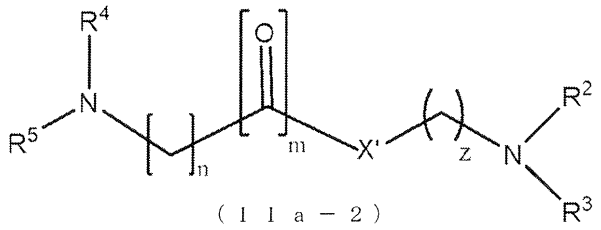
（式中、R^1、R^2、R^3、Ｘ’、Ｔ、Ｗ、ｎ、ｍ、ｐ及びｚは請求項６で定義した通りである）の構造で表される；または
ｐは０であり、Ｗは結合であり、ＴはＣであり、化合物は式（ＩＩａ－１）：
【化１０】



（ＩＩａ－１）

（式中、R^1、R^2、R^3、Ｘ’、ｎ、ｍ及びｚは請求項６で定義した通りである）の構造で表される；または
R^1はNR^4R^5であり、化合物は式（ＩＩａ－２）：

【化１１】

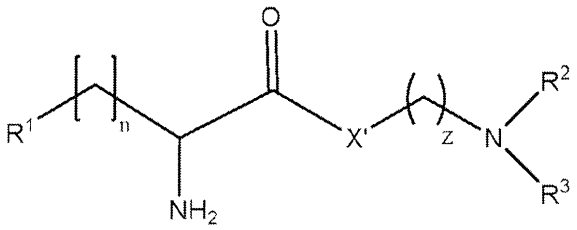


（ＩＩａ－２）

（式中、Ｒ^{2}、Ｒ^{3}、Ｒ^{4}、Ｒ^{5}、Ｘ’、ｎ、ｍ及びｚは請求項６で定義した通りである）の構造で表される；または

ｐは１であり、ｍは１であり、Ｗは結合であり、ＴはＣであり、化合物は式（ＩＩａ－３）：

【化１２】

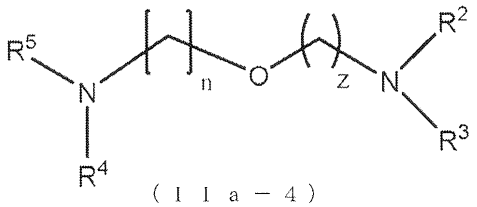


（ＩＩａ－３）

（式中、Ｒ^{1}は天然又は非天然アミノ酸の側鎖であり、Ｒ^{2}、Ｒ^{3}、Ｘ’、ｎ及びｚは請求項６で定義した通りである）の構造で表される；または

ｐは０であり、Ｒ^{1}はＮＲ^{4}Ｒ^{5}であり、Ｗは結合であり、ｍは０であり、Ｘ’はＯであり、化合物は式（ＩＩａ－４）：

【化１３】



（ＩＩａ－４）

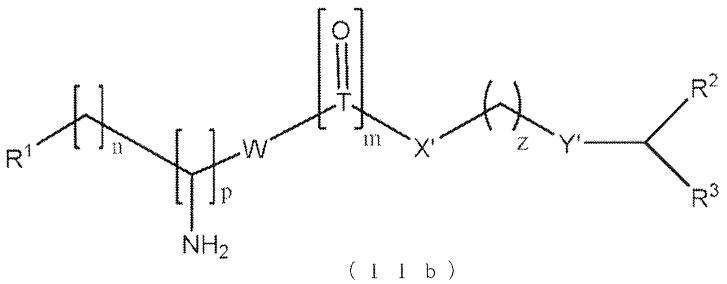
の構造で表される、

請求項６に記載のカチオン性脂質。

【請求項９】

式（ＩＩｂ）：

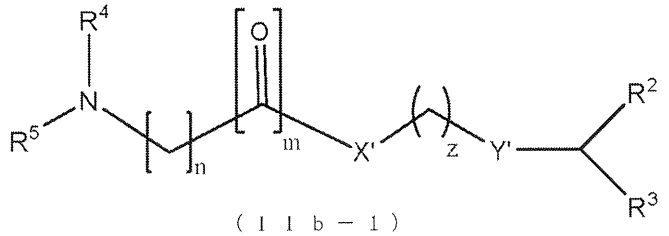
【化１４】



（ＩＩｂ）

（式中、Ｒ^{1}、Ｒ^{2}、Ｒ^{3}、Ｔ、Ｗ、Ｘ’、Ｙ’、ｎ、ｍ、ｐ及びｚは請求項６で定義し

た通りである）の構造で表される；または
　ｐは０であり、Ｗは結合であり、ＴはＣであり、Ｒ^{1}はＮＲ^{4}Ｒ^{5}であり、化合物は式（ＩＩｂ－１）：
【化１５】



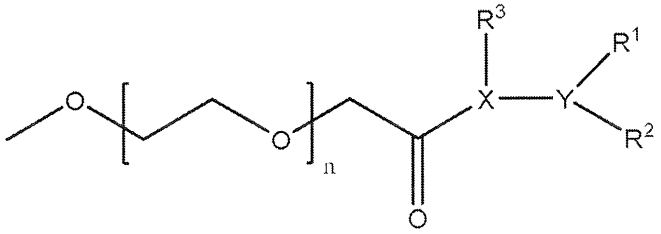
（ＩＩｂ－１）

（式中、Ｒ^{2}、Ｒ^{3}、Ｒ^{4}、Ｒ^{5}、Ｘ’、Ｙ’、ｎ、ｍ及びｚは請求項６で定義した通りである）の構造で表される、
　請求項６に記載のカチオン性脂質。
【請求項１０】
　２－（１，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）－Ｎ，Ｎ－ジメチルエタン－１－アミン、
　４－（１，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）－Ｎ，Ｎ－ジメチルブタン－１－アミン、
　１－（４－（１，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）ブチル）ピロリジン、
　Ｎ，Ｎ－ジメチル－４－（（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）（（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）オキシ）アミノ）ブタン－１－アミン、
　４－（ジメチルアミノ）－Ｎ’－（（Ｚ）－オクタデセ－９－エン－１－イル）－Ｎ－（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ブタンヒドラジド、
　４－（（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）オキシ）－Ｎ，Ｎ－ジメチルブタン－１－アミン、
　１－（４－（２，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）ブチル）ピロリジン、
　４－（（（（６Ｚ，９Ｚ，２８Ｚ，３１Ｚ）－ヘプタトリアコンタ－６，９，２８，３１－テトラエン－１９－イル）アミノ）オキシ）－Ｎ，Ｎ－ジメチルブタン－１－アミン、
　２－（（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）オキシ）－Ｎ，Ｎ－ジメチル－２－オキソエタン－１－アミン、
　４－（ジメチルアミノ）－Ｎ’，Ｎ’－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ブタンヒドラジド、
　（Ｓ）－２－アミノ－６－（ジメチルアミノ）－Ｎ’，Ｎ’－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヘキサンヒドラジド、
　４－（２，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）－Ｎ，Ｎ－ジメチルブタン－１－アミン、
　１－（（Ｓ）－４－アミノ－５－（２，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）－５－オキソペンチル）グアニジン、
　４－（（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）オキシ）－Ｎ，Ｎ－ジメチル－４－オキソブタン－１－アミン、
　２－（２，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）－Ｎ，Ｎ－ジメチルエタン－１－アミン、
　４－（ジメチルアミノ）－Ｎ－（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）－Ｎ－（（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）オキシ）ブタンアミド、

Ｎ’，Ｎ’－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）－４－（ピロリジン－１－イル）ブタンヒドラジド、
（Ｓ）－２－アミノ－３－（１Ｈ－イミダゾル－４－イル）－Ｎ’，Ｎ’－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）プロパンヒドラジド、
Ｎ，Ｎ－ジメチル－２－（２－（（Ｚ）－オクタデセ－９－エン－１－イル）－１－（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）エタン－１－アミン、
Ｎ，Ｎ－ジメチル－２－（１－（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）－２－オクタデシルヒドラジニル）エタン－１－アミン、
４－（４－メチルピペラジン－１－イル）－Ｎ’，Ｎ’－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ブタンヒドラジド、
Ｏ－（４－（４－メチルピペラジン－１－イル）ブタノイル）－Ｎ，Ｎ－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドロキシルアミン、
ビス（２－ヘキシルデカン酸）（２－（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ビス（ヘキサン－６，１－ジイル）、
ビス（２－ヘキシルデカン酸）（１－（２－（ジメチルアミノ）エチル）ヒドラジン－１，２－ジイル）ビス（ヘキサン－６，１－ジイル）、
ビス（２－ヘキシルデカン酸）（１－（２－（ジメチルアミノ）エチル）ヒドラジン－１，２－ジイル）ビス（ノナン－９，１－ジイル）、
１０，１０’－（１－（２－（ジメチルアミノ）エチル）ヒドラジン－１，２－ジイル）ビス（デカン酸）ジ（トリデカン－７－イル）、
ビス（２－ヘキシルデカン酸）（２－（４－（ジメチルアミノ）ブチル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ビス（ヘキサン－６，１－ジイル）、
ビス（２－ヘキシルデカン酸）（２－（４－（ジメチルアミノ）ブチル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ビス（ノナン－９，１－ジイル）、
ビス（２－ヘキシルデカン酸）（（４－（ジメチルアミノ）ブトキシ）アザンジイル）ビス（ヘキサン－６，１－ジイル）、
ビス（２－ヘキシルデカン酸）（（４－（ジメチルアミノ）ブトキシ）アザンジイル）ビス（ノナン－９，１－ジイル）、
４－（２－（２，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）エチル）－１Ｈ－イミダゾール、
１－（２－（２，２－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドラジニル）エチル）グアニジン、
Ｏ－（２－（１Ｈ－イミダゾル－４－イル）アセチル）－Ｎ，Ｎ－ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）ヒドロキシルアミン、
１－（２－（（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）オキシ）－２－オキソエチル）グアニジン、
２－（１Ｈ－イミダゾル－４－イル）酢酸２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）エチル、
カルバミミドイルグリシン酸２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）エチル、
ジメチルグリシン酸２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）エチル、
４－（ジメチルアミノ）ブタン酸２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）エチル、
Ｌ－ヒスチジン酸２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）エチル、
（４Ｚ，４’Ｚ）－ビス（２－ヘキシルデセ－４－エン酸）（１－（２－（ジメチルアミノ）エチル）ヒドラジン－１，２－ジイル）ビス（オクタン－８，１－ジイル）、
（３Ｚ，３’Ｚ）－ビス（ノン－３－エン酸）（１－（２－（ジメチルアミノ）エチル

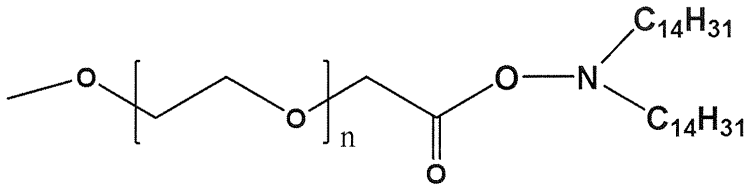
）ヒドラジン－１，２－ジイル）ビス（オクタン－８，１－ジイル）、
８，８’－（２－（２－（ジメチルアミノ）エチル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）、
８，８’－（２－（２－（ジメチルアミノ）エチル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ペンタデセ－９－エン－７－イル）、
８，８’－（（（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）オキシ）アザンジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ペンタデセ－９－エン－７－イル）、
８，８’－（（（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）オキシ）アザンジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）、
８，８’－（２－（（（２－（ジメチルアミノ）エチル）チオ）カルボニル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ペンタデセ－９－エン－７－イル）、
８，８’－（２－（（（２－（ジメチルアミノ）エチル）チオ）カルボニル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ジオクタン酸ジ（トリデカン－７－イル）、
（Ｚ）－ノン－３－エン酸８－（（（（２－（ジメチルアミノ）エチル）チオ）カルボニル）（（８－（（（（Ｚ）－ノン－３－エノイル）オキシ）オクチル）オキシ）アミノ）オクチル、
８，８’－（（２－（（ジメチルグリシル）オキシ）エチル）アザンジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ペンタデセ－９－エン－７－イル）、
８，８’－（（２－（（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）オキシ）エチル）アザンジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）、
８，８’－（（２－（（カルバミミドイルグリシル）オキシ）エチル）アザンジイル）ジオクタン酸ジ（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）、
８，８’－（（２－（（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）オキシ）エチル）アザンジイル）ジオクタン酸ジ（トリデカン－７－イル）、
（３Ｚ，３’Ｚ）－ビス（ノン－３－エン酸）（（２－（（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）オキシ）エチル）アザンジイル）ビス（オクタン－８，１－ジイル）、
ビス（デカン酸）（（２－（（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）オキシ）エチル）アザンジイル）ビス（ヘプタン－７，１－ジイル）、
４－（４－メチルピペラジン－１－イル）ブタン酸２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）エチル、
６，６’－（２－（４－（ジメチルアミノ）ブタノイル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ジヘキサン酸ジ（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）、
ビス（デカン酸）（２－（２－（ジメチルアミノ）エチル）ヒドラジン－１，１－ジイル）ビス（ヘプタン－７，１－ジイル）、
（９Ｚ，１２Ｚ）－Ｎ－（２－（４－（ジメチルアミノ）ブトキシ）エチル）－Ｎ－（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）オクタデカ－９，１２－ジエン－１－アミン、
４－（ジメチルアミノ）－Ｎ’，Ｎ’－ビス（６－（（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）オキシ）ヘキシル）ブタンヒドラジド、
４－（ピロリジン－１－イル）ブタン酸２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－１－イル）アミノ）エチル、
Ｎ－（２－（４－（ジメチルアミノ）ブトキシ）エチル）－６－（（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）オキシ）－Ｎ－（６－（（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）オキシ）ヘキシル）ヘキサン－１－アミン、
ビス（デカン酸）（（２－（４－（ジメチルアミノ）ブトキシ）エチル）アザンジイル）ビス（ヘプタン－７，１－ジイル）、及び
６，６’－（（２－（４－（ジメチルアミノ）ブトキシ）エチル）アザンジイル）ジヘキサン酸ジ（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）から成る群から選択される、請求項１～９のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。
【請求項１１】

式（ＩＩＩ）：
【化１６】

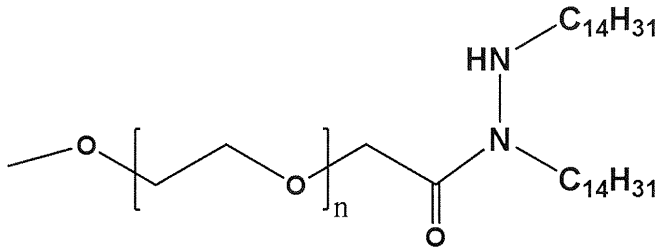


（ＩＩＩ）

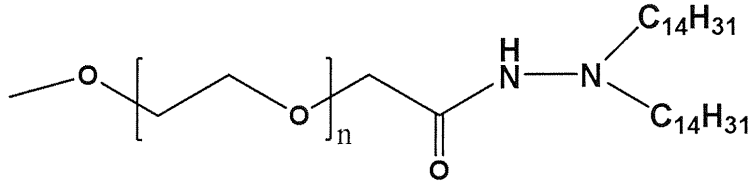
（式中、
ＸとＹは各々独立してＯ、Ｎ又はＮＨであり、
Ｒ^{1}、Ｒ^{2}及びＲ^{3}の各々は独立して存在しないか、又はＣ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルキル、Ｃ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルケニル若しくはＣ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルキニルであり、
ｎは１～３０である）の構造で表され、
その塩、水和物、溶媒和物、多形体、光学異性体、幾何異性体、鏡像異性体、ジアステレオマー及びその混合物を含む；または
前記カチオン性脂質が、
【化１７】



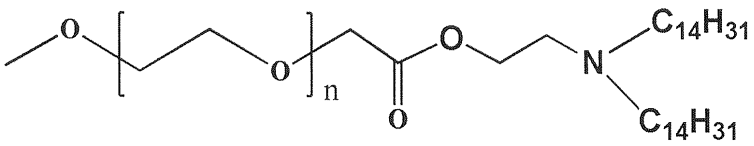
【化１８】



【化１９】

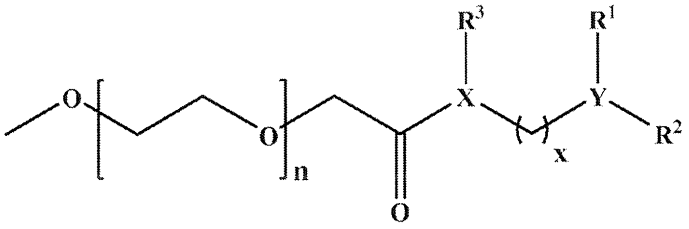


及び
【化２０】



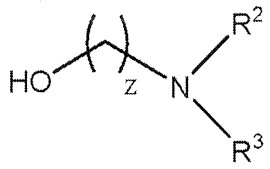
から成る群から選択される、
請求項１に記載のカチオン性脂質。
【請求項１２】

式（ＩＩＩＡ）：
【化２１】



（ＩＩＩＡ）

（式中、
ＸとＹは各々独立してＯ、Ｎ又はＮＨであり、ＸとＹの両方がＯになることはなく、
Ｒ^{1}、Ｒ^{2}及びＲ^{3}の各々は独立して存在しないか、又はＣ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルキル、Ｃ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルケニル若しくはＣ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルキニルであり、
ｎは１～３０の整数であり、
ｘは０又は２である）の構造で表され、
その塩、水和物、溶媒和物、多形体、光学異性体、幾何異性体、鏡像異性体、ジアステレオマー及びその混合物を含む、請求項１に記載のカチオン性脂質。
【請求項１３】
請求項１～１２のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む組成物であって、前記組成物は、任意選択で少なくとも１種の中性脂質又はＰＥＧ修飾脂質および／または核酸を更に含む、組成物。
【請求項１４】
前記組成物は、メッセンジャーＲＮＡ（ｍＲＮＡ）を含む、請求項１３に記載の組成物。
【請求項１５】
白血球関連病態の治療用の組成物であって、前記白血球関連病態は、癌、感染症、自己免疫疾患、神経変性疾患及び炎症から成る群から選択される組成物である；または
遺伝子サイレンシング用の組成物である；または
ｍＲＮＡによってコードされているタンパク質の発現用の組成物である、
請求項１３または１４に記載の組成物。
【請求項１６】
式（ＩＩａ－５）：
【化２２】



（ＩＩａ－５）

（式中、
Ｒ^{2}とＲ^{3}は、
（ａ）Ｃ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルキル、
（ｂ）Ｃ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルケニル、
（ｃ）Ｃ$_{10}$－Ｃ$_{22}$アルキニル、
（ｄ）Ｃ$_{4}$－Ｃ$_{10}$アルキレン－Ｚ－Ｃ$_{4}$－Ｃ$_{22}$アルキル、及び
（ｅ）Ｃ$_{4}$－Ｃ$_{10}$アルキレン－Ｚ－Ｃ$_{4}$－Ｃ$_{22}$アルケニルから成る群から選択され、
ｚは０又は２である）の構造で表される中間体化合物である、または
前記中間体化合物が、２－（ジ（（９Ｚ，１２Ｚ）－オクタデカ－９，１２－ジエン－

１－イル）アミノ）エタン－１－オール、６，６’－（（２－ヒドロキシエチル）アザンジイル）ジヘキサン酸ジ（（Ｚ）－ノン－３－エン－１－イル）、及びビス（デカン酸）（（２－ヒドロキシエチル）アザンジイル）ビス（ヘプタン－７，１－ジイル）から成る群から選択される、中間体化合物。