

【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4年11月14日(2022.11.14)

【国際公開番号】WO2020/097384
 【公表番号】特表2022-512945(P2022-512945A)
 【公表日】令和4年2月7日(2022.2.7)
 【年通号数】公開公報(特許)2022-022
 【出願番号】特願2021-524374(P2021-524374)
 【国際特許分類】

10

C 0 7 D 2 4 1 / 0 8 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 K 9 / 1 2 7 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 K 4 8 / 0 0 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 P 4 3 / 0 0 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 P 3 / 0 0 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 P 1 1 / 0 0 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 P 1 / 1 6 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 K 4 7 / 2 2 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 K 3 8 / 1 6 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 K 3 8 / 4 5 (2 0 0 6 . 0 1)
 A 6 1 K 3 8 / 0 4 (2 0 0 6 . 0 1)

20

【 F I 】

C 0 7 D 2 4 1 / 0 8
 A 6 1 K 9 / 1 2 7
 A 6 1 K 4 8 / 0 0
 A 6 1 P 4 3 / 0 0 1 0 5
 A 6 1 P 3 / 0 0
 A 6 1 P 1 1 / 0 0
 A 6 1 P 1 / 1 6
 A 6 1 K 4 7 / 2 2
 A 6 1 K 3 8 / 1 6
 A 6 1 K 3 8 / 4 5
 A 6 1 K 3 8 / 0 4

30

【手続補正書】

【提出日】令和4年11月2日(2022.11.2)

【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

40

【補正の内容】

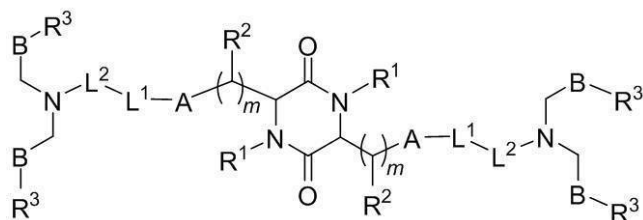
【特許請求の範囲】

【請求項1】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有するカチオン性脂質であって：

50

【化 1】



(A'),

式中、

各 R¹ および R² は独立して、H または C₁ - C₆ 脂肪族であり；

各 m は独立して、1 ~ 4 の値を有する整数であり；

各 A は独立して、共有結合またはアリーレンであり；

各 L¹ は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；各 L² は独立して、C₂ - C₁₀ 脂肪族であり；各 B は独立して、-CHX¹- または -CH₂CO₂- であり；各 X¹ は独立して、H または OH であり；および各 R³ は独立して、C₆ - C₃₀ 脂肪族である、カチオン性脂質。

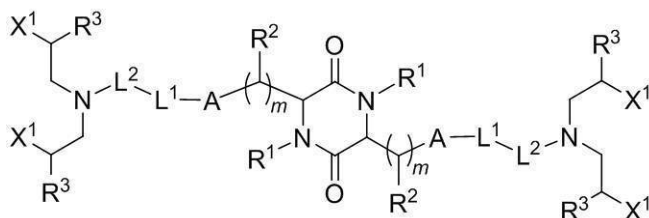
10

【請求項 2】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し；

20

【化 2】



(A),

式中、

各 R¹ および R² は独立して、H または C₁ - C₆ 脂肪族であり；

各 m は独立して、1 ~ 4 の値を有する整数であり；

各 A は独立して、共有結合またはアリーレンであり；

各 L¹ は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；各 L² は独立して、C₂ - C₁₀ 脂肪族であり；各 X¹ は独立して、H または OH であり；および各 R³ は独立して、C₆ - C₃₀ 脂肪族である、請求項 1 に記載のカチオン性脂質。

30

【請求項 3】

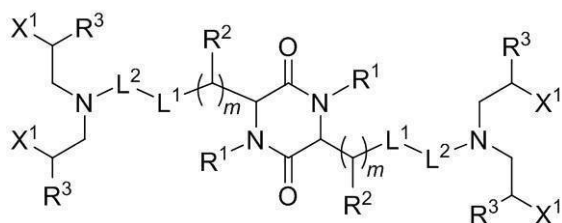
各 A が独立して、共有結合またはフェニレンである、請求項 1 または 2 に記載のカチオン性脂質。

40

【請求項 4】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【化 3】



50

(I)

【請求項 5】

各 R^1 が、H である、請求項 1 ~ 4 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6】

各 R^2 が独立して、H または $C_1 - C_6$ アルキルである、請求項 1 ~ 5 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7】

各 L^2 が独立して、 $C_2 - C_{10}$ アルキレンである、請求項 1 ~ 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 8】

各 R^3 が独立して、 $C_6 - C_{20}$ アルキル、 $C_6 - C_{20}$ アルケニル、または $C_6 - C_{20}$ アルキニルである、請求項 1 ~ 7 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

10

【請求項 9】

前記 R^3 が、 $-O-C(O)R'$ または $-C(O)-OR'$ である置換基を含み、式中、 R' が、 $C_1 - C_{16}$ アルキルである、請求項 8 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 10】

各 X^1 が、OH である、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】

各 m が、1 である、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 12】

各 m が、2 である、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

【請求項 13】

各 m が、3 である、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

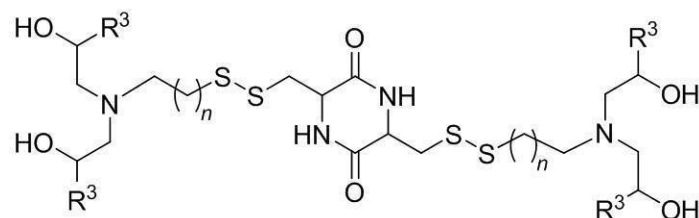
【請求項 14】

各 m が、4 である、請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 15】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 4】



30

(I - a)、

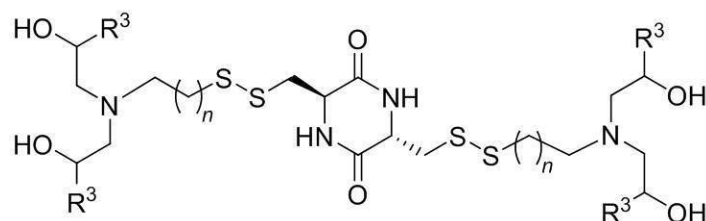
式中、各 n は独立して、1 ~ 9 の値を有する整数である、請求項 11 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 16】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 15 に記載のカチオン性脂質。

40

【化 5】



(I - a ')

50

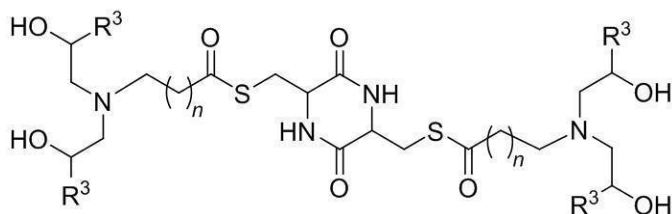
【請求項 17】

(i) 各 n が、1 である、(ii) 各 n が、2 である、または (iii) 各 n が、3 である、請求項 15 または 16 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 18】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 6】



10

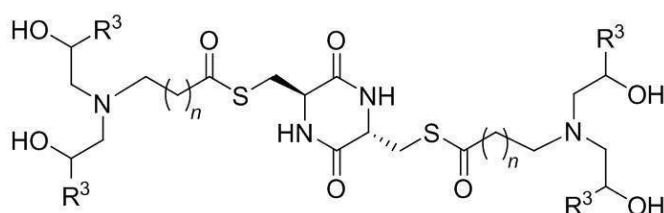
(I - b)、

式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、請求項 11 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 19】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 18 に記載のカチオン性脂質。

【化 7】



20

(I - b')

【請求項 20】

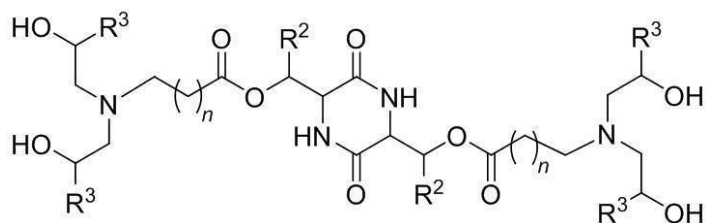
(i) 各 n が、1 である、(ii) 各 n が、2 である、または (iii) 各 n が、3 である、請求項 18 または 19 に記載のカチオン性脂質。

30

【請求項 21】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 8】



40

(I - c)、

式中、

各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数であり、および

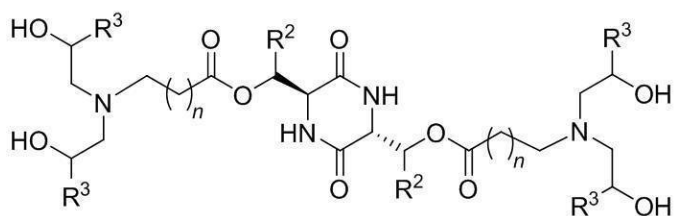
各 R^2 は独立して、H または CH_3 である、請求項 11 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 22】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 21 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 9】



(I - c ')

【請求項 2 3】

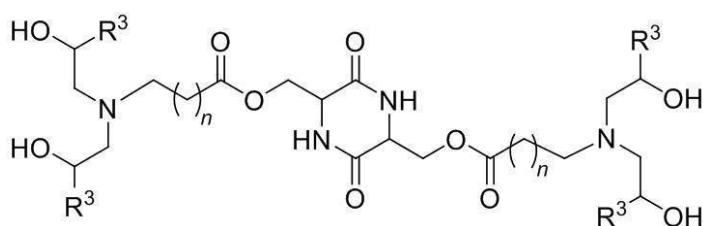
各 R^2 が、Hである、請求項 2 1 または 2 2 に記載のカチオン性脂質。

10

【請求項 2 4】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 2 3 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 0】



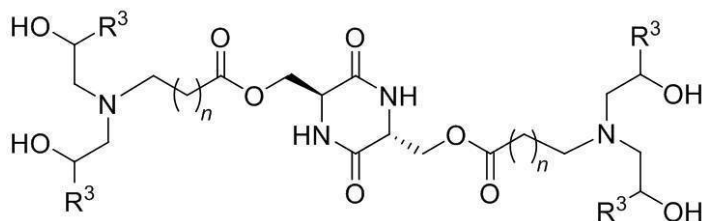
20

(I - c - 1)

【請求項 2 5】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 2 3 または 2 4 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 1】



30

(I - c ' - 1)

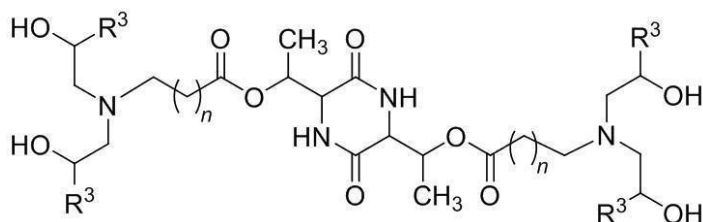
【請求項 2 6】

各 R^2 が、 CH_3 である、請求項 2 1 または 2 2 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 2 7】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 1 2】



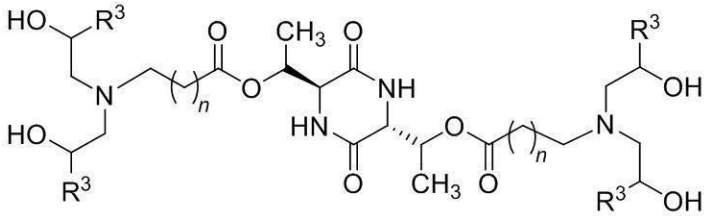
40

(I - c - 2)

任意で前記カチオン性脂質が、以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する、請求項 2 6 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 1 3】



(I - c ' - 2)

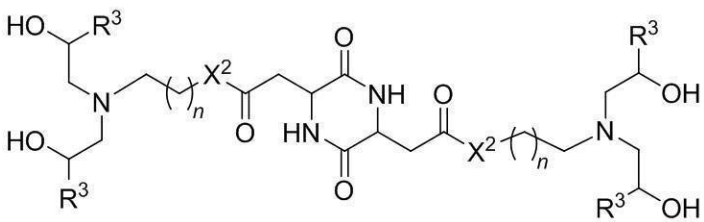
【請求項 2 8】

(i) 各 n が、 1 である、 (i i) 各 n が、 2 である、または (i i i) 各 n が、 3 である、請求項 2 1 ~ 2 7 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 2 9】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 1 4】



(I - d)、

式中、

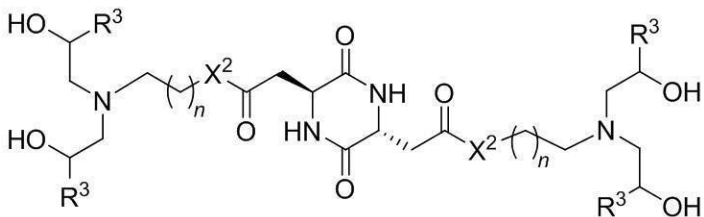
各 n は独立して、 1 ~ 9 の値を有する整数であり、および

各 X^2 は独立して、 O または S である、請求項 1 1 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 3 0】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 2 9 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 5】



(I - d ')

【請求項 3 1】

各 n が、 1 である、請求項 2 9 または 3 0 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 3 2】

各 n が、 2 である、請求項 2 9 または 3 0 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 3 3】

各 n が、 3 である、請求項 2 9 または 3 0 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 3 4】

各 X^2 が、 S である、請求項 2 9 ~ 3 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 3 5】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 3 4 に記載のカチオン性脂質。

10

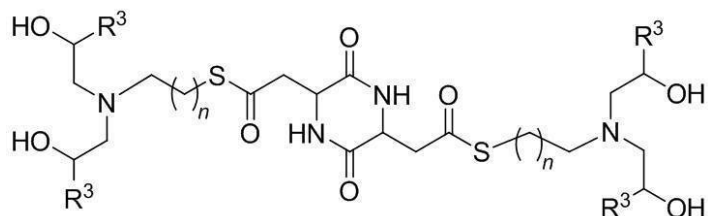
20

30

40

50

【化 1 6】



(I - d - 1)

【請求項 3 6】

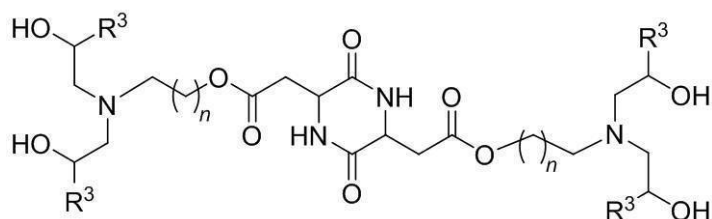
各 X^2 が、Oである、請求項 2 9 ~ 3 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

10

【請求項 3 7】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 3 6 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 7】



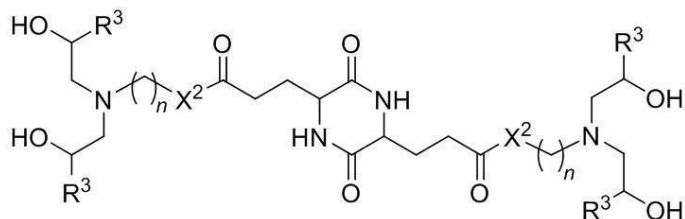
20

(I - d - 2)

【請求項 3 8】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 1 8】



30

(I - e)、

式中、

各 n は独立して、2 ~ 1 0 の値を有する整数であり、および

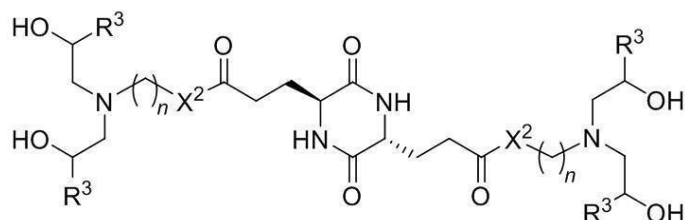
各 X^2 は独立して、OまたはSである、請求項 1 2 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 3 9】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 3 8 に記載のカチオン性脂質。

40

【化 1 9】



(I - e ')

【請求項 4 0】

50

各 n が、2 である、請求項 38 または 39 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 41】

各 n が、3 である、請求項 38 または 39 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 42】

各 n が、4 である、請求項 38 または 39 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 43】

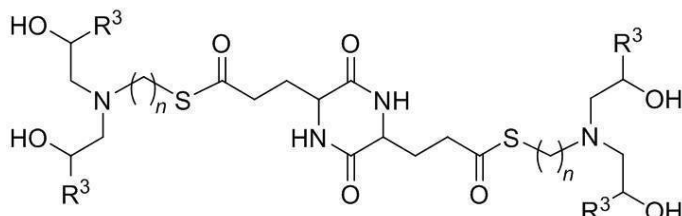
各 X^2 が、S である、請求項 38 ~ 42 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 44】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 43 に記載のカチオン性脂質。

10

【化 20】



(I - e - 1)

【請求項 45】

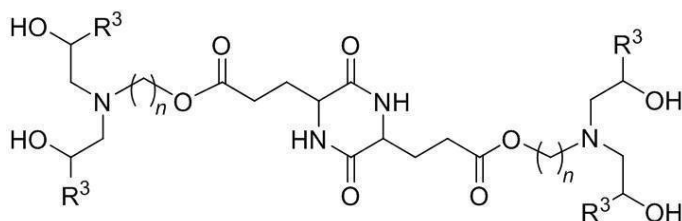
各 X^2 が、O である、請求項 38 ~ 42 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

【請求項 46】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 45 に記載のカチオン性脂質。

【化 21】



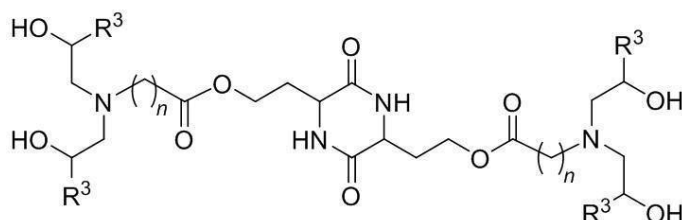
30

(I - e - 2)

【請求項 47】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 22】



40

(I - f)、

式中、

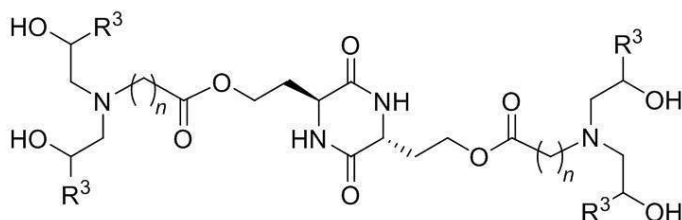
各 n は独立して、2 ~ 10 の値を有する整数である、請求項 12 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 48】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 47 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 2 3】



(I - f ')

【請求項 4 9】

各 n が、2 である、請求項 4 7 または 4 8 に記載のカチオン性脂質。

10

【請求項 5 0】

各 n が、3 である、請求項 4 7 または 4 8 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 5 1】

各 n が、4 である、請求項 4 7 または 4 8 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 5 2】

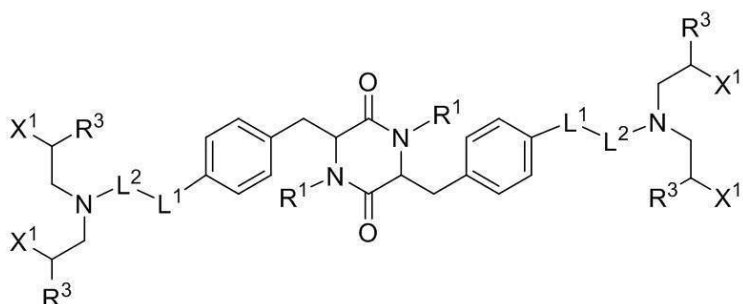
各 R^3 が独立して、 $C_6 - C_{20}$ 脂肪族である、請求項 1 ~ 5 1 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 5 3】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

20

【化 2 4】



30

(I I)、

式中、

各 R^1 は独立して、 H または $C_1 - C_6$ 脂肪族であり；

各 L^1 は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；

各 L^2 は独立して、 $C_2 - C_{10}$ 脂肪族であり；

各 X^1 は独立して、 H または OH であり；および

各 R^3 は独立して、 $C_6 - C_{30}$ 脂肪族である、請求項 1 ~ 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 5 4】

各 R^1 が独立して、 H または $C_1 - C_6$ アルキルである、請求項 5 3 に記載のカチオン性脂質。

40

【請求項 5 5】

各 R^1 が、 H である、請求項 5 3 または 5 4 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 5 6】

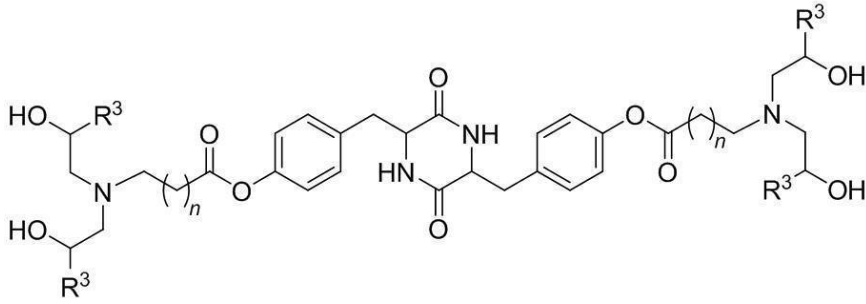
各 X^1 が、 OH である、請求項 5 3 ~ 5 5 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 5 7】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

50

【化 2 5】



10

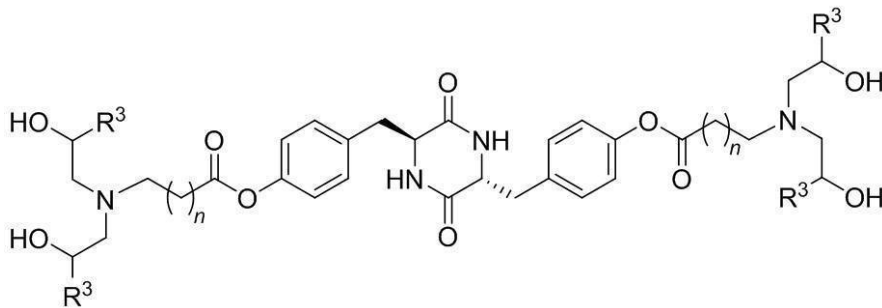
(II - a)、

式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、請求項 5 3 ~ 5 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 5 8】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 5 7 に記載のカチオン性脂質。

【化 2 6】



20

(II - a')

【請求項 5 9】

各 n が、2 である、請求項 5 7 または 5 8 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 0】

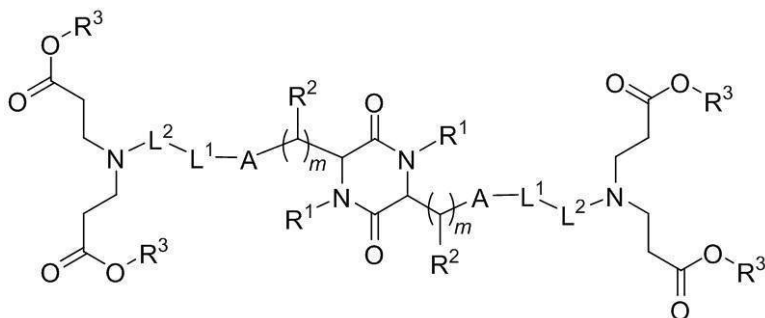
各 R^3 が独立して、 $C_8 - C_{20}$ 脂肪族である、請求項 5 3 ~ 5 9 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

30

【請求項 6 1】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 2 7】



40

(III)、

式中、

各 R^1 および R^2 は独立して、 H または $C_1 - C_6$ 脂肪族であり；

各 m は独立して、1 ~ 4 の値を有する整数であり；

各 A は独立して、共有結合またはアリーレンであり；

50

各 L^1 は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；

各 L^2 は独立して、 $C_2 - C_{10}$ 脂肪族であり；

各 R^3 は独立して、 $C_6 - C_{30}$ 脂肪族である、請求項 1 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 2】

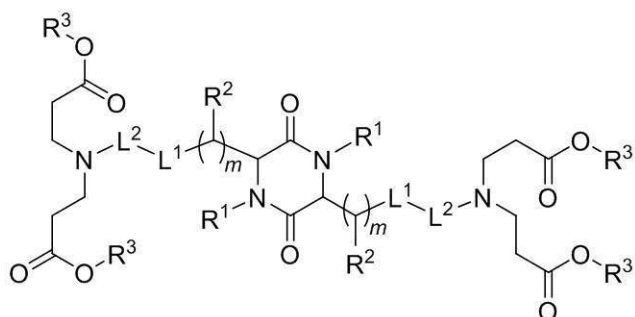
各 A が独立して、共有結合またはフェニレンである、請求項 6 0 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 3】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 6 1 または 6 2 に記載のカチオン性脂質。

【化 2 8】

10



20

(I I I ')

【請求項 6 4】

各 R^1 が、H である、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 5】

各 R^2 が独立して、H または $C_1 - C_6$ アルキルである、請求項 6 1 ~ 6 4 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 6】

各 L^2 が独立して、 $C_2 - C_{10}$ アルキレンである、請求項 6 1 ~ 6 5 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 7】

30

各 R^3 が独立して、 $C_6 - C_{20}$ アルキル、 $C_6 - C_{20}$ アルケニル、または $C_6 - C_{20}$ アルキニルである、請求項 6 1 ~ 6 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 8】

前記 R^3 が、 $-O-C(O)R'$ または $-C(O)-OR'$ である置換基を含み、式中、 R' が、 $C_1 - C_{16}$ アルキルである、請求項 6 7 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 6 9】

各 m が、1 である、請求項 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7 0】

各 m が、2 である、請求項 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7 1】

40

各 m が、3 である、請求項 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7 2】

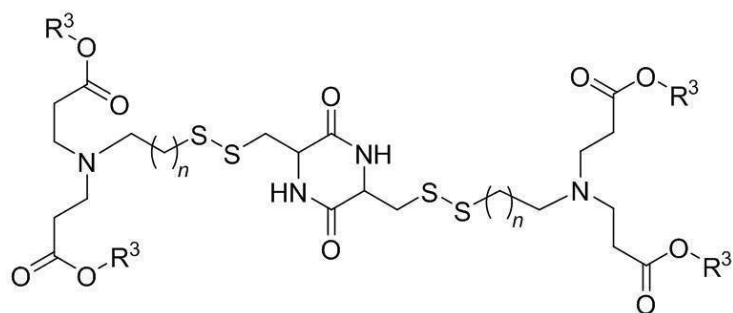
各 m が、4 である、請求項 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7 3】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

50

【化 2 9】



10

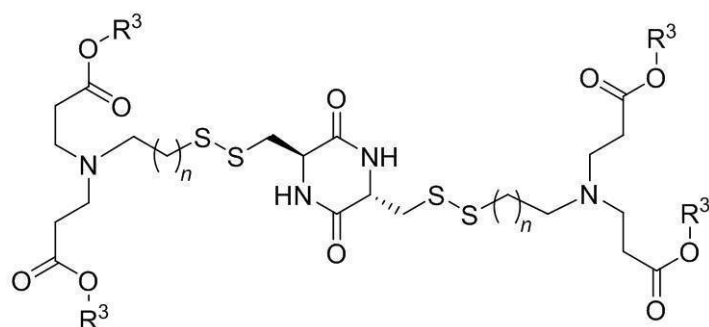
(III - a)、

式中、各 n は独立して、1 ~ 9 の値を有する整数である、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7 4】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 7 3 に記載のカチオン性脂質。

【化 3 0】



20

(III - a')

【請求項 7 5】

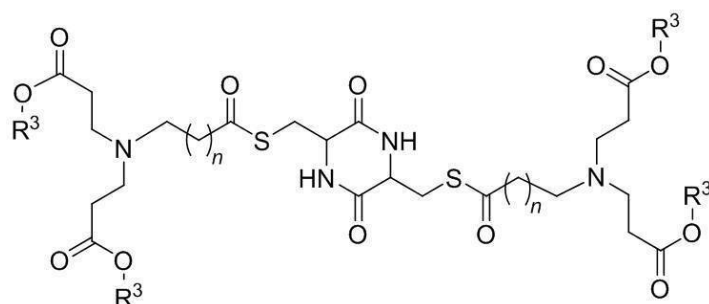
(i) 各 n が、1 である、(ii) 各 n が、2 である、または (iii) 各 n が、3 である、請求項 7 3 または 7 4 に記載のカチオン性脂質。

30

【請求項 7 6】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 3 1】



40

(III - b)、

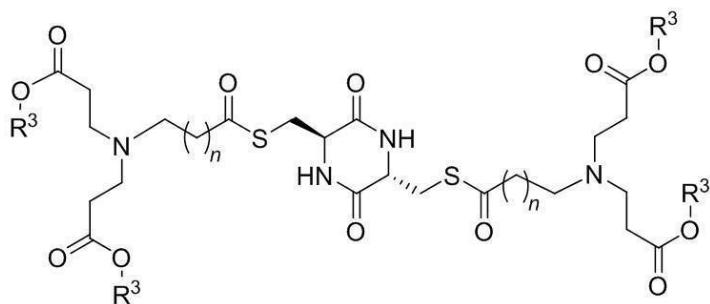
式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7 7】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 7 6 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 3 2】



10

(I I I - b ')

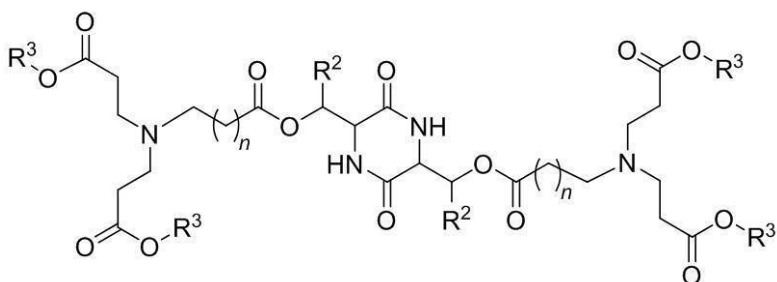
【請求項 7 8】

(i) 各 n が、1である、(i i) 各 n が、2である、または(i i i) 各 n が、3である、請求項 7 6 または 7 7 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 7 9】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 3 3】



20

(I I I - c)、

式中、

各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数であり、および

各 R^2 は独立して、H または CH_3 である、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載の

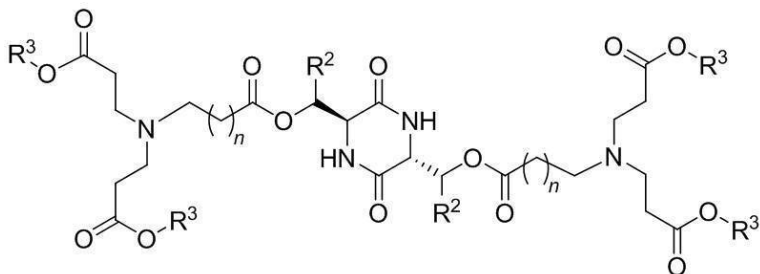
30

カチオン性脂質。

【請求項 8 0】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 7 9 に記載のカチオン性脂質。

【化 3 4】



40

(I I I - c ')

【請求項 8 1】

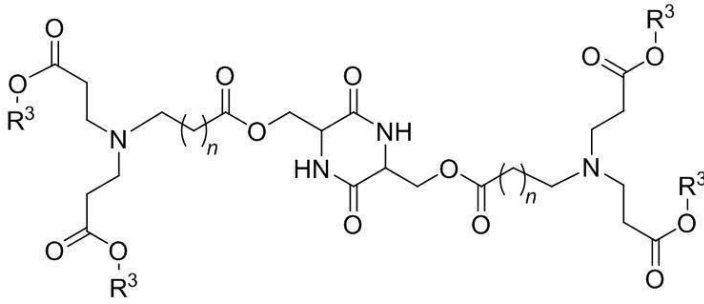
各 R^2 が、H である、請求項 7 9 または 8 0 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 8 2】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 8 1 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 3 5】



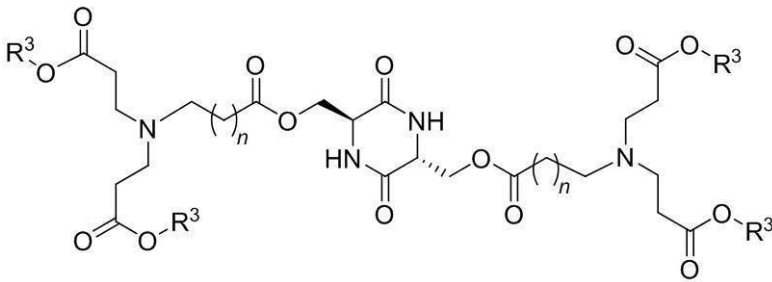
10

(I I I - c - 1)

【請求項 8 3】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 8 2 に記載のカチオン性脂質。

【化 3 6】



20

(I I I - c ' - 1)

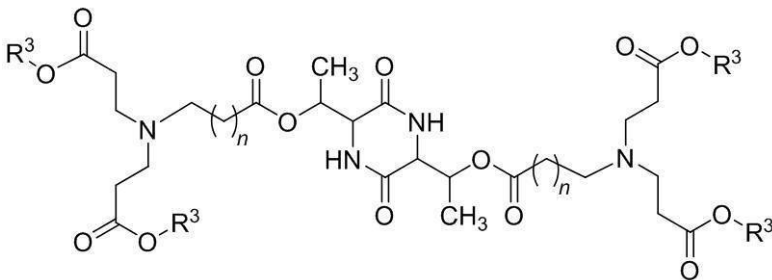
【請求項 8 4】

各 R² が、CH₃ である、請求項 7 9 または 8 0 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 8 5】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 3 7】

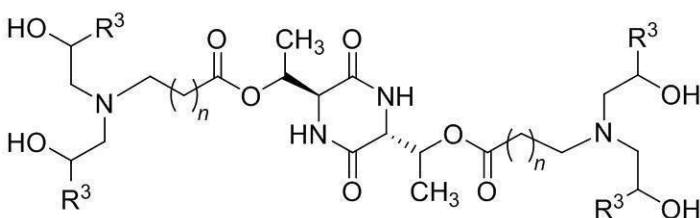


30

(I I I - c - 2)

任意で前記カチオン性脂質が、以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する、請求項 8 4 に記載のカチオン性脂質。

【化 3 8】



40

50

(I I I - c ' - 2)

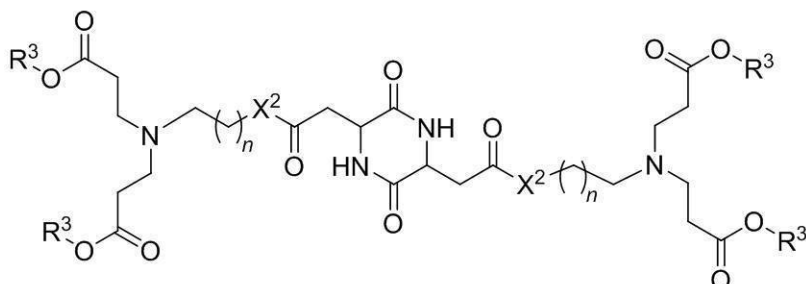
【請求項 8 6】

(i) 各 n が、1である、(i i) 各 n が、2である、または(i i i) 各 n が、3である、請求項 7 9 ~ 8 5 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 8 7】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 3 9】



10

(I I I - d)、

式中、

各 n は独立して、1 ~ 9 の値を有する整数であり、および

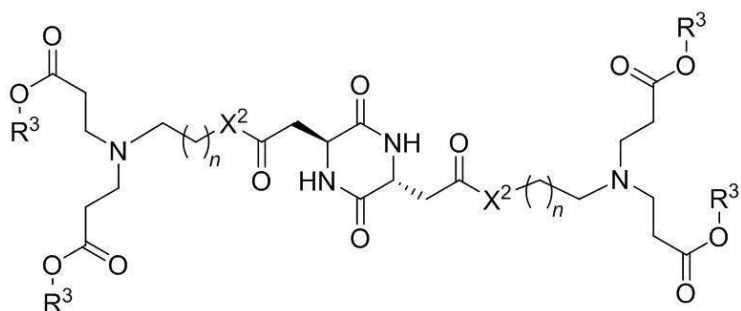
各 X^2 は独立して、O または S である、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

【請求項 8 8】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 8 7 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 0】



30

(I I I - d ')

【請求項 8 9】

各 n が、1である、請求項 8 7 または 8 8 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 9 0】

各 n が、2である、請求項 8 7 または 8 8 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 9 1】

各 n が、3である、請求項 8 7 または 8 8 に記載のカチオン性脂質。

40

【請求項 9 2】

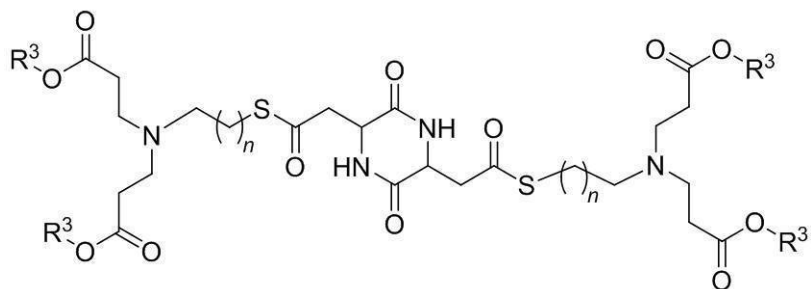
各 X^2 が、S である、請求項 8 7 ~ 9 1 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 9 3】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 9 2 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 4 1】



10

(I I I - d - 1)

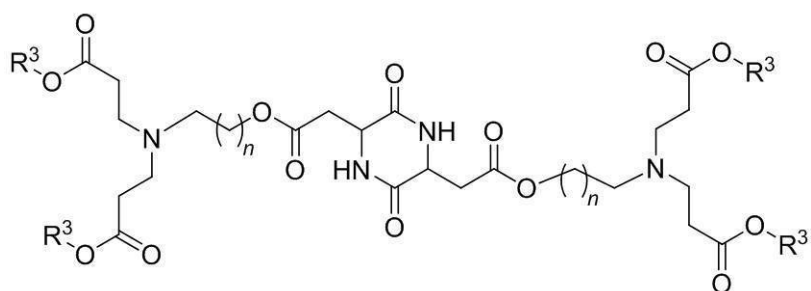
【請求項 9 4】

各 X^2 が、Oである、請求項 8 7 ~ 9 1 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 9 5】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 9 4 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 2】



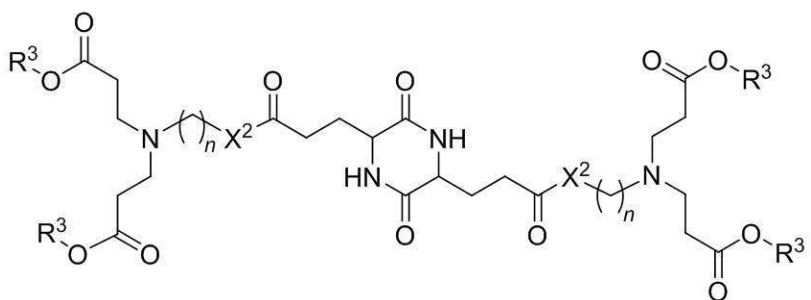
20

(I I I - d - 2)

【請求項 9 6】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 4 3】



30

(I I I - e)、

式中、

各 n は独立して、2 ~ 10 の値を有する整数であり、および

各 X^2 は独立して、OまたはSである、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

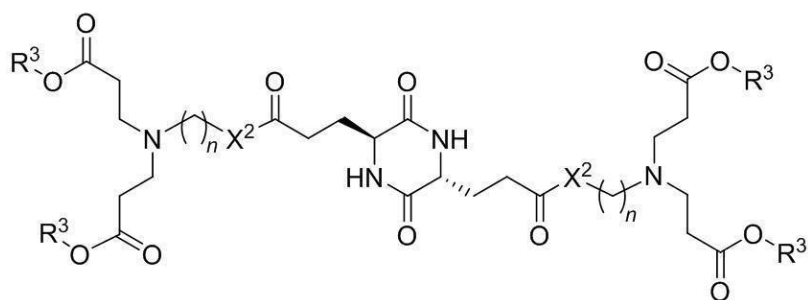
【請求項 9 7】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 9 6 に記載のカチオン性脂質。

40

50

【化 4 4】



10

(I I I - e ')

【請求項 9 8】

各 n が、2 である、請求項 9 6 または 9 7 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 9 9】

各 n が、3 である、請求項 9 6 または 9 7 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 0 0】

各 n が、4 である、請求項 9 6 または 9 7 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 0 1】

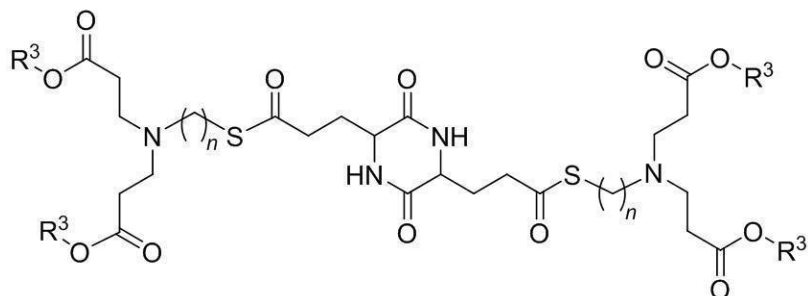
各 X^2 が、S である、請求項 9 6 ~ 1 0 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 0 2】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 1 0 1 に記載のカチオン性脂質。

20

【化 4 5】



30

(I I I - e - 1)

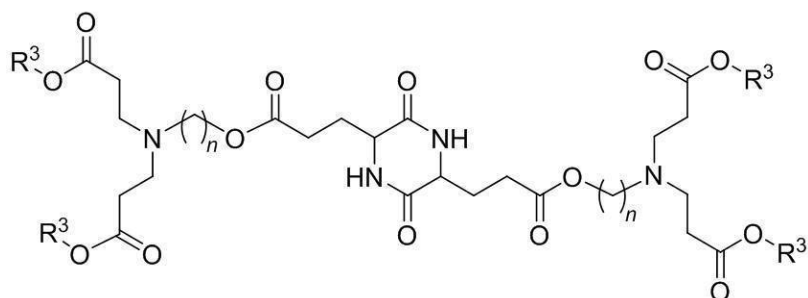
【請求項 1 0 3】

各 X^2 が、O である、請求項 9 6 ~ 1 0 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 0 4】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 1 0 3 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 6】



40

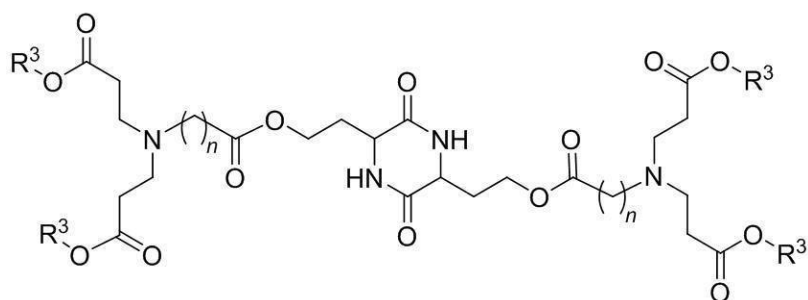
(I I I - e - 2)

【請求項 1 0 5】

50

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 4 7】



10

(I II I - f)、

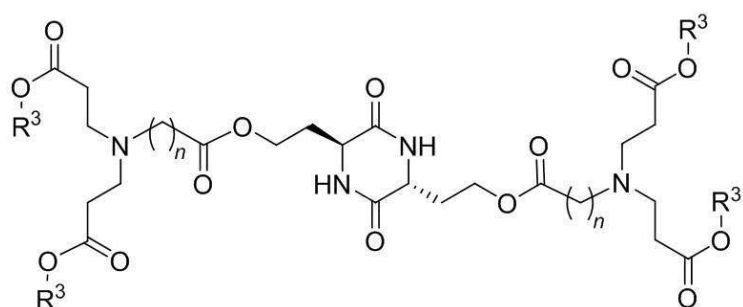
式中、

各 n は独立して、2 ~ 10 の値を有する整数である、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 0 6】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 1 0 5 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 8】



20

(I II I - f ')

【請求項 1 0 7】

各 n が、2 である、請求項 1 0 5 または 1 0 6 に記載のカチオン性脂質。

30

【請求項 1 0 8】

各 n が、3 である、請求項 1 0 5 または 1 0 6 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 0 9】

各 n が、4 である、請求項 1 0 5 または 1 0 6 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 1 0】

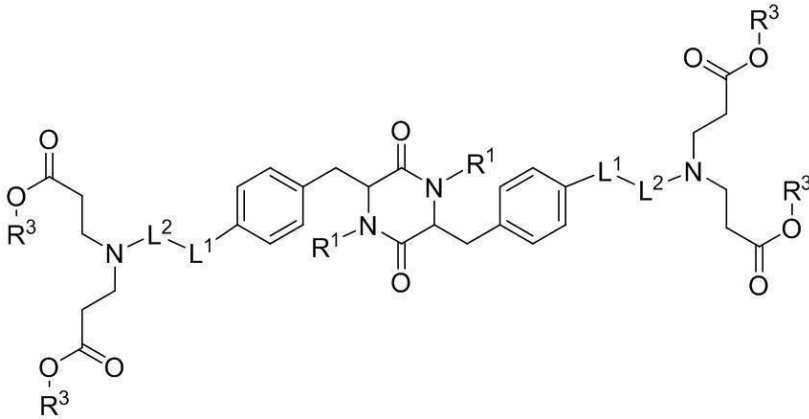
各 R^3 が独立して、 $C_6 - C_{20}$ 脂肪族から選択される、請求項 6 1 ~ 1 0 9 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 1 1】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

40

【化 4 9】



10

(IV)、

式中、

各 R^1 は独立して、H または $C_1 - C_6$ 脂肪族であり；各 L^1 は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；各 L^2 は独立して、 $C_2 - C_{10}$ 脂肪族であり；各 R^3 は独立して、 $C_6 - C_{30}$ 脂肪族である、請求項 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

【請求項 1 1 2】

各 R^1 が独立して、H または $C_1 - C_6$ アルキルである、請求項 1 1 1 に記載のカチオン性脂質。

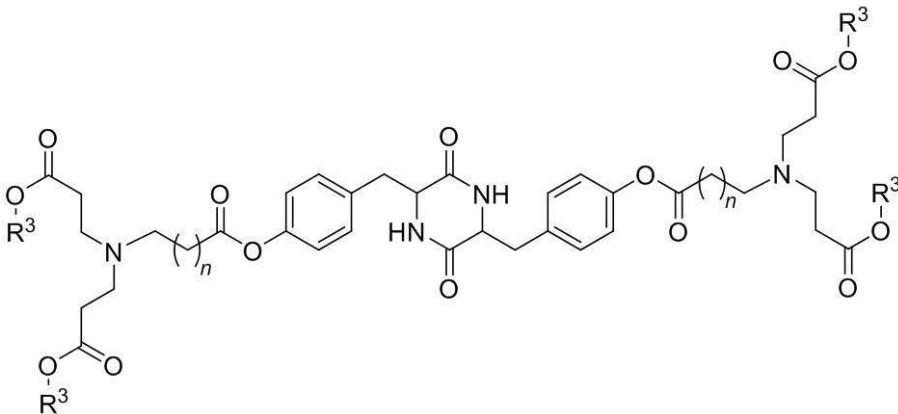
【請求項 1 1 3】

各 R^1 が、H である、請求項 1 1 1 または 1 1 2 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 1 4】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 5 0】



30

(IV - a)、

式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、請求項 1 1 1 ~ 1 1 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

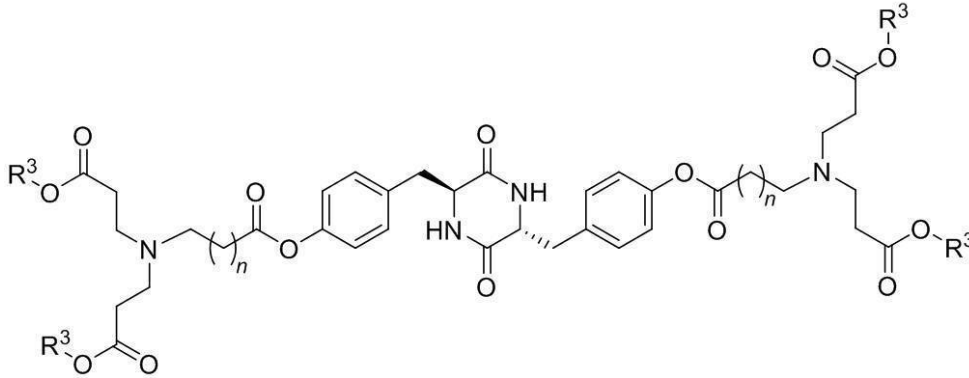
【請求項 1 1 5】

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する請求項 1 1 4 に記載のカチオン性脂質。

40

50

【化 5 1】



10

(I V - a ')

【請求項 1 1 6】

(i) 各 n が、1 である、(i i) 各 n が、2 である、または (i i i) 各 n が、3 である、請求項 1 1 4 または 1 1 5 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 1 7】

各 R^3 が独立して、 $C_8 \sim C_{20}$ 脂肪族から選択される、請求項 1 1 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 1 8】

各 R^3 が、非置換 $C_6 \sim C_{20}$ アルキルである、請求項 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

【請求項 1 1 9】

各 R^3 が、 C_6H_{13} 、 C_8H_{17} 、 $C_{10}H_{21}$ 、 $C_{12}H_{25}$ 、 $C_{14}H_{29}$ 、 $C_{16}H_{33}$ または $C_{18}H_{37}$ である、請求項 1 1 7 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 0】

各 R^3 が、 $C_{10}H_{21}$ である、請求項 1 1 8 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 1】

各 R^3 が、置換 $C_6 \sim C_{20}$ アルキルである、請求項 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

30

【請求項 1 2 2】

R^3 が、 $-O-C(O)R'$ または $-C(O)-OR'$ である置換基を含み、式中、 R' が、 $C_1 \sim C_{16}$ アルキルである、請求項 1 2 1 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 3】

R^3 が、 $-O-C(O)C_7H_{15}$ または $-C(O)-O-(CH_2)_2CH(C_5H_{11})_2$ により置換される $C_6 \sim C_{10}$ アルキルである、請求項 1 2 2 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 4】

各 R^3 が、 $-(CH_2)_9-O-C(O)C_7H_{15}$ または $-(CH_2)_8C(O)-O-(CH_2)_2CH(C_5H_{11})_2$ である、請求項 1 2 2 に記載のカチオン性脂質。

40

【請求項 1 2 5】

各 R^3 が、非置換 $C_6 \sim C_{20}$ アルケニルである、請求項 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 6】

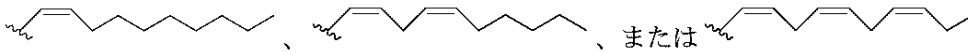
各 R^3 が、非置換モノアルケニル、非置換ジエニル、または非置換トリエニルである、請求項 1 2 5 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 7】

各 R^3 が、 $-(CH_2)_oR'$ であり、式中、 o が、6、7、8、9、または 10 であり、 R' が、

50

【化 5 2】



である、請求項 1 2 5 または 1 2 6 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 8】

各 R^3 が、 $C_{16}H_{31}$ または $C_{16}H_{29}$ である、請求項 1 2 5 に記載のカチオン性脂質。

【請求項 1 2 9】

各 R^3 が、非置換 $C_6 - C_{20}$ アルキニルである、請求項 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。 10

【請求項 1 3 0】

化合物 1 ~ 5 5 2 のいずれか一つであるカチオン性脂質、またはその薬学的に許容可能な塩。

【請求項 1 3 1】

リボソーム内に封入されたタンパク質をコードする mRNA を含む組成物であって、前記リボソームが、請求項 1 ~ 1 3 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、組成物。

【請求項 1 3 2】

嚢胞性線維症膜コンダクタンス制御因子 (CFTR) タンパク質をコードする mRNA を含む、請求項 1 3 1 に記載の組成物。 20

【請求項 1 3 3】

オルニチントランスカルバミラーゼ (OTC) タンパク質をコードする mRNA を含む、請求項 1 3 1 に記載の組成物。

【請求項 1 3 4】

リボソーム内に封入された核酸を含む組成物であって、前記リボソームが、請求項 1 ~ 1 3 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、組成物。

【請求項 1 3 5】

前記核酸が、ペプチドまたはタンパク質をコードする mRNA である、請求項 1 3 4 に記載の組成物。 30

【請求項 1 3 6】

前記 mRNA が、対象の肺もしくは肺細胞への送達またはその治療で使用するためのペプチドまたはタンパク質をコードする、請求項 1 3 5 に記載の組成物。

【請求項 1 3 7】

前記 mRNA が、嚢胞性線維症膜コンダクタンス制御因子 (CFTR) タンパク質をコードする、請求項 1 3 6 に記載の組成物。

【請求項 1 3 8】

前記 mRNA が、対象の肝臓もしくは肝臓細胞への送達またはその治療で使用するためのペプチドまたはタンパク質をコードする、請求項 1 3 5 に記載の組成物。

【請求項 1 3 9】

前記 mRNA が、オルニチントランスカルバミラーゼ (OTC) タンパク質をコードする、請求項 1 3 8 に記載の組成物。 40

【請求項 1 4 0】

前記 mRNA が、ワクチンにおける使用のためのペプチドまたはタンパク質をコードする、請求項 1 3 1 または 1 3 4 に記載の組成物。

【請求項 1 4 1】

前記 mRNA が、抗原をコードする、請求項 1 4 0 に記載の組成物。

【請求項 1 4 2】

一つ以上のカチオン性脂質、一つ以上の PEG 修飾脂質、および / または一つ以上のヘルパー脂質を含む、請求項 1 3 1 ~ 1 4 1 のいずれか一項に記載の組成物。 50

【請求項 143】

前記一つ以上のヘルパー脂質が、1, 2 - ジエルコイル - sn - グリセロ - 3 - ホスホエタノールアミン (DEPE) である、請求項 142 に記載の組成物。

【請求項 144】

前記一つ以上のヘルパー脂質が、ジオレオイルホスファチジルエタノールアミン (DOPE) である、請求項 143 に記載の組成物。

【請求項 145】

ポリヌクレオチドの送達のための組成物であって、請求項 1 ~ 130 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質および担体を含む、組成物。

【請求項 146】

前記組成物が、リポソームである、請求項 145 に記載の組成物。

【請求項 147】

mRNA のインビボ送達を必要とする対象に対する mRNA のインビボ送達の方法における使用のための、請求項 131 に記載の組成物。

【請求項 148】

メッセンジャー RNA (mRNA) の送達を必要とする対象に対する mRNA の送達における使用のための組成物であって、前記組成物がリポソームを含み、前記リポソームが、前記 mRNA の送達が前記 mRNA によってコードされる治療用タンパク質の発現をもたらすように、前記リポソーム内に封入された前記治療用タンパク質をコードする mRNA を含み、前記リポソームが、請求項 1 ~ 130 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、組成物。

【請求項 149】

肝臓または肺に関連する障害を治療、阻害、および/または予防することを必要とする対象の肝臓または肺に関連する障害を治療、阻害、および/または予防するための医薬の製造における組成物の使用であって、前記組成物が、請求項 1 ~ 130 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、使用。

【請求項 150】

前記組成物が、タンパク質またはペプチドをコードする mRNA を含み、タンパク質またはペプチドをコードする前記 mRNA がリポソーム内に封入され、前記リポソームが前記カチオン性脂質を含む、請求項 149 に記載の使用。

【請求項 151】

前記組成物が、リポソーム内に封入された核酸を含み、前記リポソームが前記カチオン性脂質を含む、請求項 149 に記載の使用。

【請求項 152】

前記組成物が、一つ以上のカチオン性脂質、一つ以上の PEG 修飾脂質、および/または一つ以上のヘルパー脂質を含む、請求項 149 ~ 151 までのいずれか一項に記載の使用。

【請求項 153】

請求項 1 ~ 130 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、脂質ナノ粒子。

【請求項 154】

タンパク質またはペプチドをコードする mRNA を封入する、請求項 153 に記載の脂質ナノ粒子。

【請求項 155】

核酸を封入する、請求項 153 に記載の脂質ナノ粒子。

【請求項 156】

一つ以上のカチオン性脂質、一つ以上の PEG 修飾脂質、および/または一つ以上のヘルパー脂質をさらに含む、請求項 153 ~ 155 までのいずれか一項に記載の脂質ナノ粒子。

【請求項 157】

肝臓または肺に関連する障害を治療、阻害、および/または予防することを必要とする対

10

20

30

40

50

象の肝臓または肺に関連する障害を治療、阻害、および/または予防するための組成物であって、請求項 1 ~ 130 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、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】0680

【補正方法】変更

【補正の内容】

【0680】

本発明のある特定の化合物、組成物、および方法が、ある特定の実施形態に従って具体的に説明されているが、開示される実施例は、本発明の化合物を例証する役割のみを果たし、それを限定するようには意図されていない。

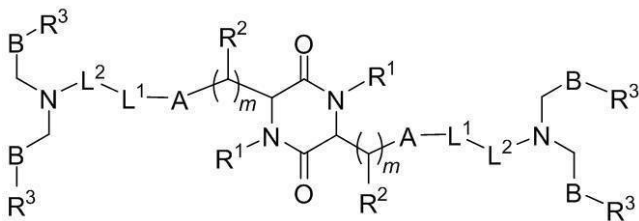
10

一実施形態において、例えば、以下の項目が提供される。

(項目 1)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有するカチオン性脂質であって：

【化 1】



20

(A'),

式中、

各 R¹ および R² は独立して、H または C₁ - C₆ 脂肪族であり；

各 m は独立して、1 ~ 4 の値を有する整数であり；

各 A は独立して、共有結合またはアリーレンであり；

各 L¹ は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；

各 L² は独立して、C₂ - C₁₀ 脂肪族であり；

各 B は独立して、-CHX¹- または -CH₂CO₂- であり；

30

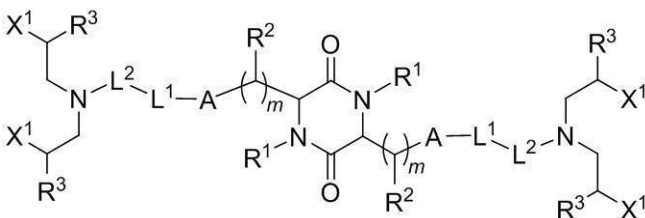
各 X¹ は独立して、H または OH であり；および

各 R³ は独立して、C₆ - C₃₀ 脂肪族である、カチオン性脂質。

(項目 2)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 2】



40

(A),

式中、

各 R¹ および R² は独立して、H または C₁ - C₆ 脂肪族であり；

各 m は独立して、1 ~ 4 の値を有する整数であり；

各 A は独立して、共有結合またはアリーレンであり；

各 L¹ は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；

各 L² は独立して、C₂ - C₁₀ 脂肪族であり；

各 X¹ は独立して、H または OH であり；および

50

各 R^3 は独立して、 $C_6 - C_{30}$ 脂肪族である、項目 1 に記載のカチオン性脂質。

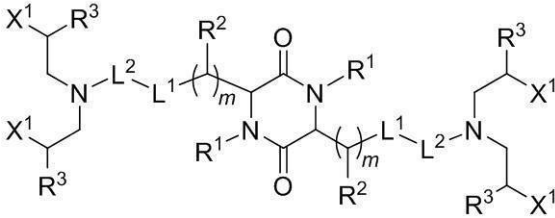
(項目 3)

各 A が独立して、共有結合またはフェニレンである、項目 1 または 2 に記載のカチオン性脂質。

(項目 4)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 1 ~ 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

【化 3】



10

(I)

(項目 5)

各 R^1 が、H である、項目 1 ~ 4 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 6)

各 R^2 が独立して、H または $C_1 - C_6$ アルキルである、項目 1 ~ 5 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

(項目 7)

各 L^2 が独立して、 $C_2 - C_{10}$ アルキレンである、項目 1 ~ 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 8)

各 R^3 が独立して、 $C_6 - C_{20}$ アルキル、 $C_6 - C_{20}$ アルケニル、または $C_6 - C_{20}$ アルキニルである、項目 1 ~ 7 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 9)

前記 R^3 が、 $-O-C(O)R'$ または $-C(O)-OR'$ である置換基を含み、式中、 R' が、 $C_1 - C_{16}$ アルキルである、項目 8 に記載のカチオン性脂質。

30

(項目 10)

各 X^1 が、OH である、項目 1 ~ 9 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 11)

各 m が、1 である、項目 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 12)

各 m が、2 である、項目 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 13)

各 m が、3 である、項目 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 14)

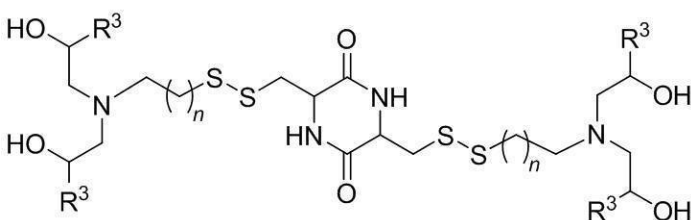
各 m が、4 である、項目 1 ~ 10 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

40

(項目 15)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 4】



50

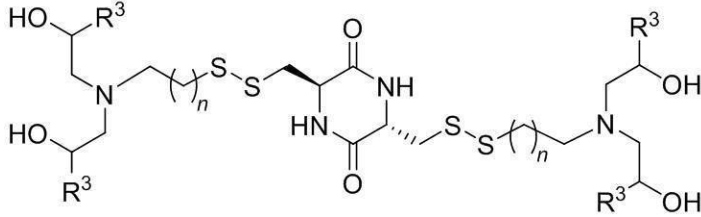
(I - a)、

式中、各 n は独立して、1 ~ 9 の値を有する整数である、項目 1 1 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 6)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 1 5 に記載のカチオン性脂質。

【化 5】



10

(I - a ')

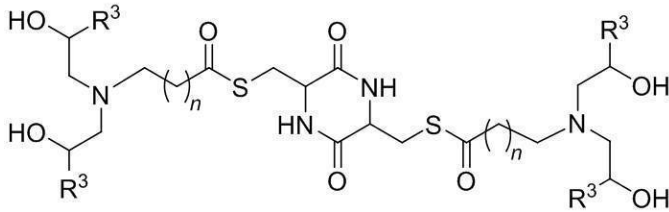
(項目 1 7)

(i) 各 n が、1 である、(i i) 各 n が、2 である、または (i i i) 各 n が、3 である、項目 1 5 または 1 6 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 8)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 6】



20

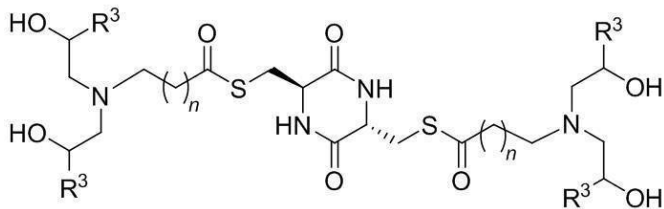
(I - b)、

式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、項目 1 1 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 9)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 1 8 に記載のカチオン性脂質。

【化 7】



30

(I - b ')

(項目 2 0)

(i) 各 n が、1 である、(i i) 各 n が、2 である、または (i i i) 各 n が、3 である、項目 1 8 または 1 9 に記載のカチオン性脂質。

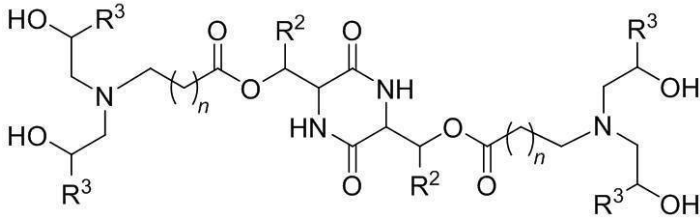
(項目 2 1)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

40

50

【化 8】



(I - c)、

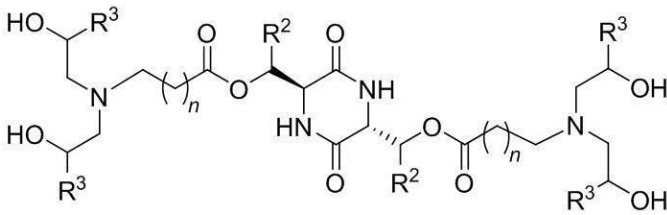
式中、

各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数であり、および各 R^2 は独立して、H または CH_3 である、項目 1 1 に記載のカチオン性脂質。

(項目 2 2)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 2 1 に記載のカチオン性脂質。

【化 9】



(I - c ')

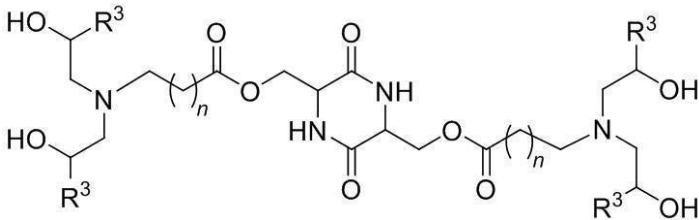
(項目 2 3)

各 R^2 が、H である、項目 2 1 または 2 2 に記載のカチオン性脂質。

(項目 2 4)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 2 3 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 0】

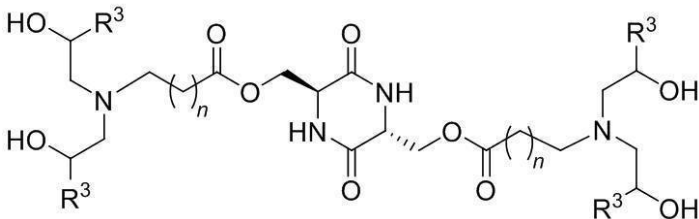


(I - c - 1)

(項目 2 5)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 2 3 または 2 4 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 1】



(I - c ' - 1)

(項目 2 6)

各 R^2 が、 CH_3 である、項目 2 1 または 2 2 に記載のカチオン性脂質。

10

20

30

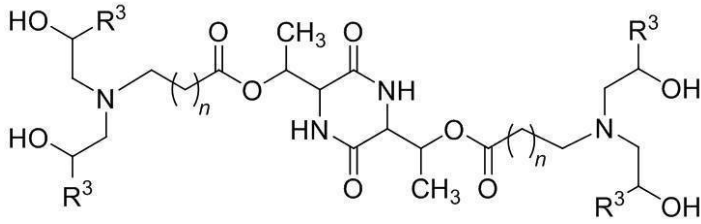
40

50

(項目 27)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 1 2】

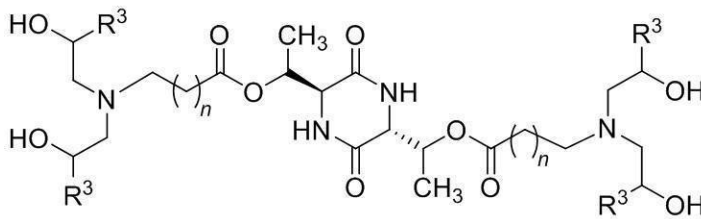


10

(I - c - 2)

任意で前記カチオン性脂質が、以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する、
項目 26 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 3】



20

(I - c' - 2)

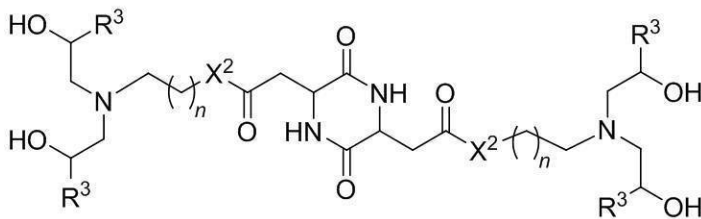
(項目 28)

(i) 各 n が、1 である、(ii) 各 n が、2 である、または (iii) 各 n が、3 である、
項目 21 ~ 27 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 29)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 1 4】



30

(I - d)、

式中、

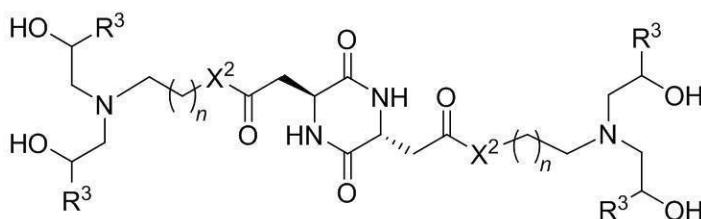
各 n は独立して、1 ~ 9 の値を有する整数であり、および

各 X² は独立して、O または S である、項目 11 に記載のカチオン性脂質。

(項目 30)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 29 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 5】



40

(I - d')

50

(項目 3 1)

各 n が、1 である、項目 2 9 または 3 0 に記載のカチオン性脂質。

(項目 3 2)

各 n が、2 である、項目 2 9 または 3 0 に記載のカチオン性脂質。

(項目 3 3)

各 n が、3 である、項目 2 9 または 3 0 に記載のカチオン性脂質。

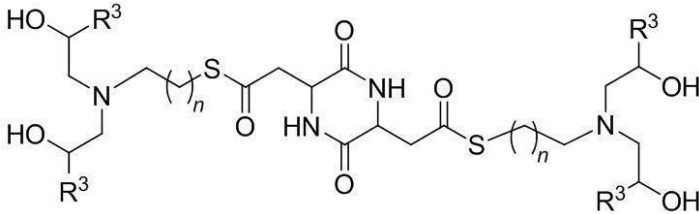
(項目 3 4)

各 X^2 が、S である、項目 2 9 ~ 3 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 3 5)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 3 4 に記載のカチオン性脂質。 10

【化 1 6】



(I - d - 1)

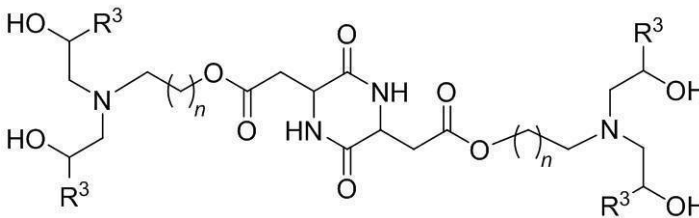
(項目 3 6)

各 X^2 が、O である、項目 2 9 ~ 3 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。 20

(項目 3 7)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 3 6 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 7】

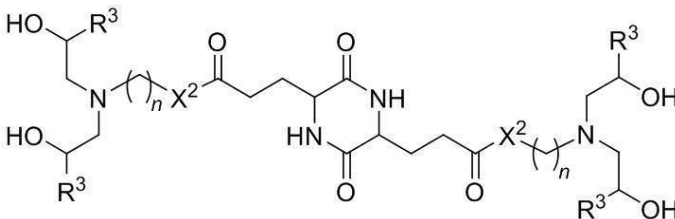


(I - d - 2)

(項目 3 8)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 1 8】



(I - e)、

式中、

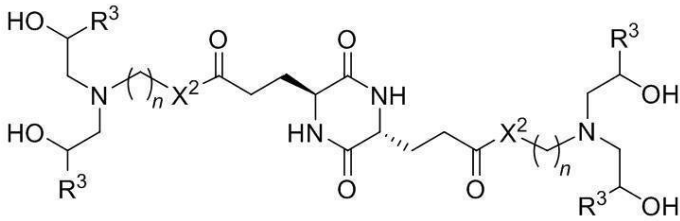
各 n は独立して、2 ~ 1 0 の値を有する整数であり、および

各 X^2 は独立して、O または S である、項目 1 2 に記載のカチオン性脂質。

(項目 3 9)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 3 8 に記載のカチオン性脂質。

【化 1 9】



(I - e ')

(項目 4 0)

各 n が、2 である、項目 3 8 または 3 9 に記載のカチオン性脂質。

(項目 4 1)

各 n が、3 である、項目 3 8 または 3 9 に記載のカチオン性脂質。

(項目 4 2)

各 n が、4 である、項目 3 8 または 3 9 に記載のカチオン性脂質。

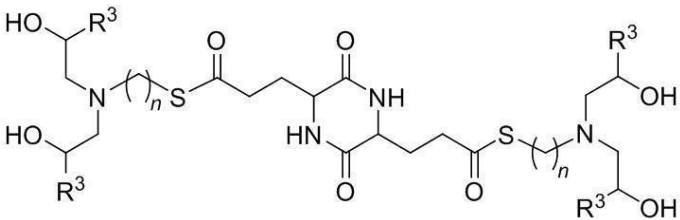
(項目 4 3)

各 X² が、S である、項目 3 8 ~ 4 2 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 4 4)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 4 3 に記載のカチオン性脂質。

【化 2 0】



(I - e - 1)

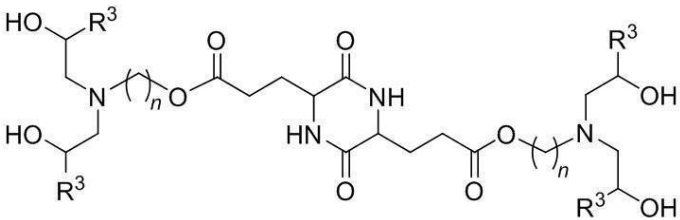
(項目 4 5)

各 X² が、O である、項目 3 8 ~ 4 2 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 4 6)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 4 5 に記載のカチオン性脂質。

【化 2 1】

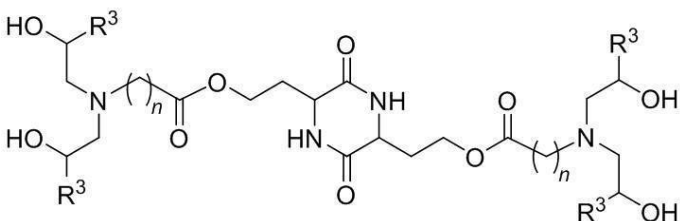


(I - e - 2)

(項目 4 7)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 2 2】



10

20

30

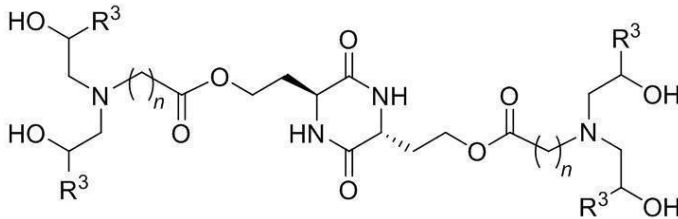
40

50

(I - f)、
 式中、

各 n は独立して、2 ~ 10 の値を有する整数である、項目 1 2 に記載のカチオン性脂質。
 (項目 4 8)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 4 7 に記載のカチオン性脂質。
 【化 2 3】



10

(I - f ')

(項目 4 9)

各 n が、2 である、項目 4 7 または 4 8 に記載のカチオン性脂質。

(項目 5 0)

各 n が、3 である、項目 4 7 または 4 8 に記載のカチオン性脂質。

(項目 5 1)

各 n が、4 である、項目 4 7 または 4 8 に記載のカチオン性脂質。

20

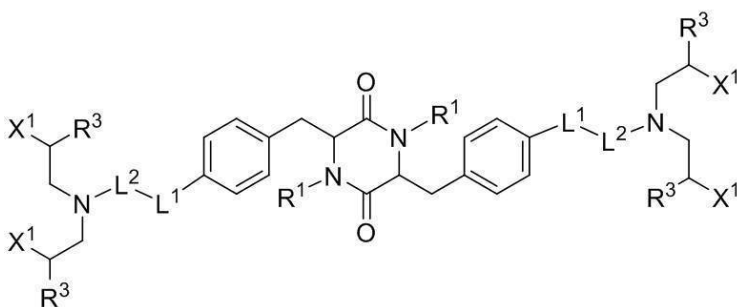
(項目 5 2)

各 R^3 が独立して、 $C_6 - C_{20}$ 脂肪族である、項目 1 ~ 5 1 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 5 3)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 2 4】



30

(I I)、

式中、

各 R^1 は独立して、H または $C_1 - C_6$ 脂肪族であり；

各 L^1 は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；

各 L^2 は独立して、 $C_2 - C_{10}$ 脂肪族であり；

40

各 X^1 は独立して、H または OH であり；および

各 R^3 は独立して、 $C_6 - C_{30}$ 脂肪族である、項目 1 ~ 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 5 4)

各 R^1 が独立して、H または $C_1 - C_6$ アルキルである、項目 5 3 に記載のカチオン性脂質。

(項目 5 5)

各 R^1 が、H である、項目 5 3 または 5 4 に記載のカチオン性脂質。

(項目 5 6)

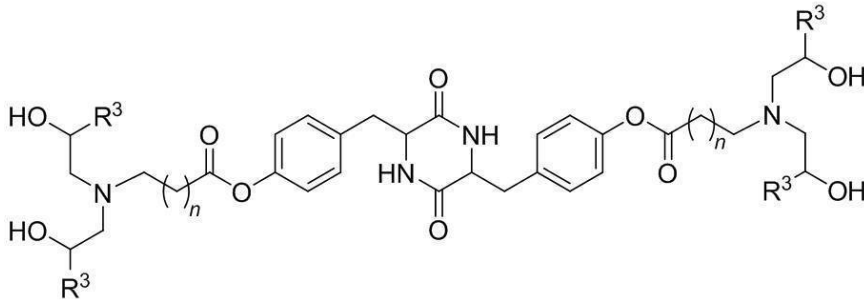
各 X^1 が、OH である、項目 5 3 ~ 5 5 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

50

(項目 5 7)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 2 5】



10

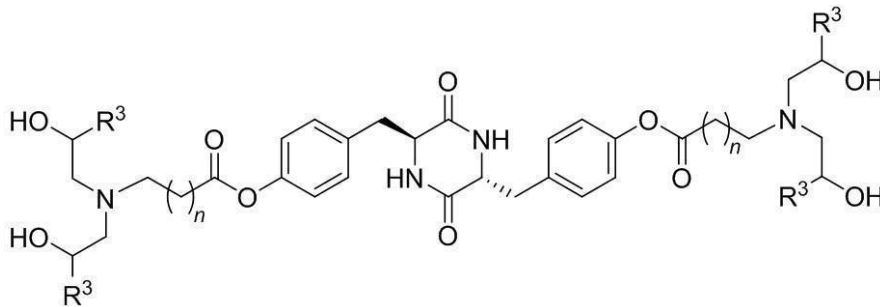
(I I - a)、

式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、項目 5 3 ~ 5 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 5 8)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 5 7 に記載のカチオン性脂質。

【化 2 6】



20

(I I - a ')

(項目 5 9)

各 n が、2 である、項目 5 7 または 5 8 に記載のカチオン性脂質。

30

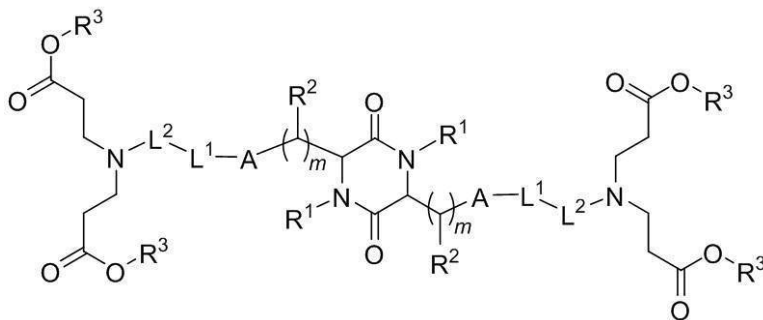
(項目 6 0)

各 R³ が独立して、C₈ - C₂₀ 脂肪族である、項目 5 3 ~ 5 9 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 1)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 2 7】



40

(I I I)、

式中、

各 R¹ および R² は独立して、H または C₁ - C₆ 脂肪族であり；

各 m は独立して、1 ~ 4 の値を有する整数であり；

50

各 A は独立して、共有結合またはアリーレンであり；

各 L¹ は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；

各 L² は独立して、C₂ - C₁₀ 脂肪族であり；

各 R³ は独立して、C₆ - C₃₀ 脂肪族である、項目 1 に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 2)

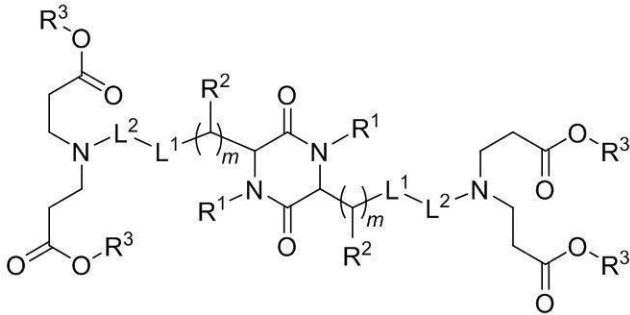
各 A が独立して、共有結合またはフェニレンである、項目 6 0 に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 3)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 6 1 または 6 2 に記載のカチオン性脂質。

【化 2 8】

10



20

(I I I ')

(項目 6 4)

各 R¹ が、H である、項目 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 5)

各 R² が独立して、H または C₁ - C₆ アルキルである、項目 6 1 ~ 6 4 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 6)

各 L² が独立して、C₂ - C₁₀ アルキレンである、項目 6 1 ~ 6 5 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 7)

30

各 R³ が独立して、C₆ - C₂₀ アルキル、C₆ - C₂₀ アルケニル、または C₆ - C₂₀ アルキニルである、項目 6 1 ~ 6 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 8)

前記 R³ が、- O - C (O) R ' または - C (O) - O R ' である置換基を含み、式中、R ' が、C₁ - C₁₆ アルキルである、項目 6 7 に記載のカチオン性脂質。

(項目 6 9)

各 m が、1 である、項目 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 7 0)

各 m が、2 である、項目 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 7 1)

40

各 m が、3 である、項目 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 7 2)

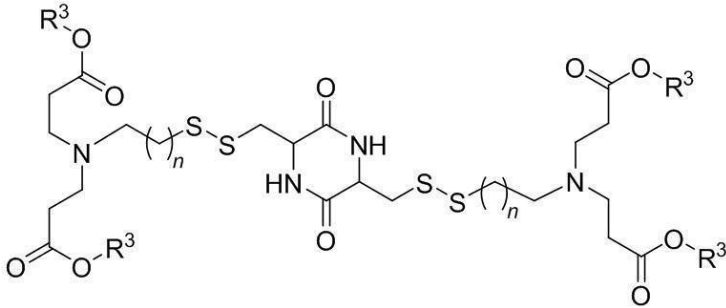
各 m が、4 である、項目 6 1 ~ 6 8 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 7 3)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し；

50

【化 2 9】



10

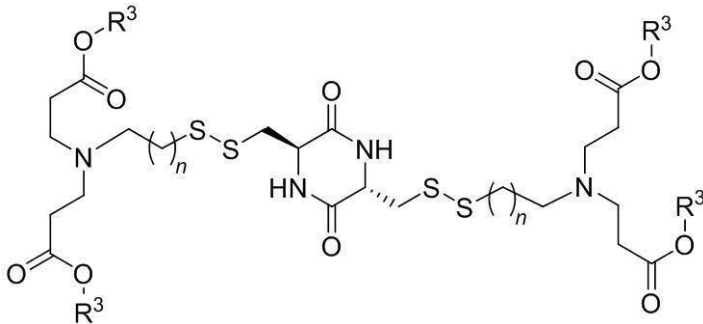
(III - a)、

式中、各 n は独立して、1 ~ 9 の値を有する整数である、項目 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 7 4)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 7 3 に記載のカチオン性脂質。

【化 3 0】



20

(III - a ')

(項目 7 5)

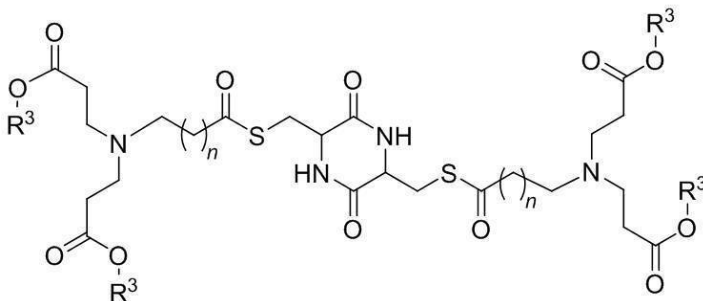
(i) 各 n が、1 である、(ii) 各 n が、2 である、または (iii) 各 n が、3 である、項目 7 3 または 7 4 に記載のカチオン性脂質。

30

(項目 7 6)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 3 1】



40

(III - b)、

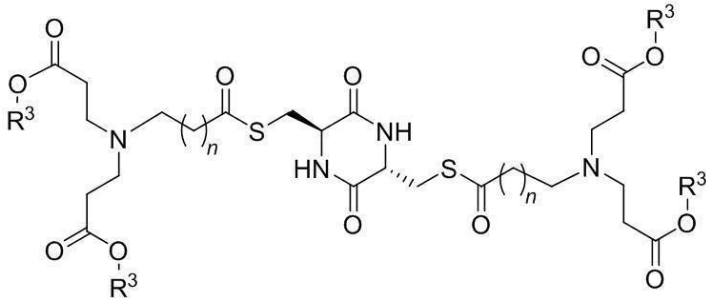
式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、項目 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 7 7)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 7 6 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 3 2】



10

(III - b ')

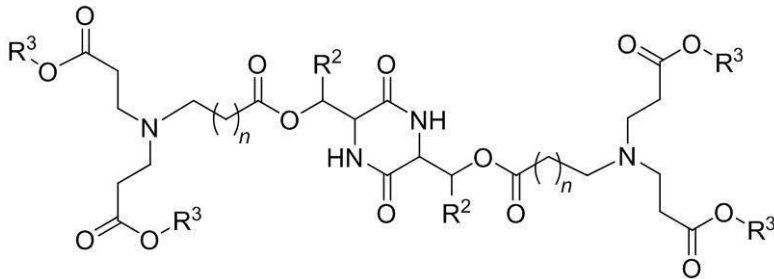
(項目 7 8)

(i) 各 n が、 1 である、 (ii) 各 n が、 2 である、 または (iii) 各 n が、 3 である、 項目 7 6 または 7 7 に記載のカチオン性脂質。

(項目 7 9)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 3 3】



20

(III - c)、

式中、

各 n は、 1 ~ 9 の値を有する整数であり、 および

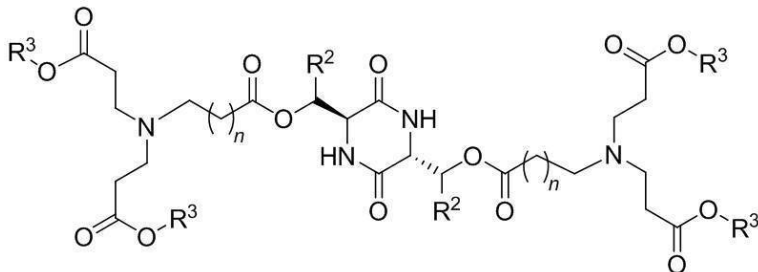
各 R² は独立して、 H または C H₃ である、 項目 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

30

(項目 8 0)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 7 9 に記載のカチオン性脂質。

【化 3 4】



40

(III - c ')

(項目 8 1)

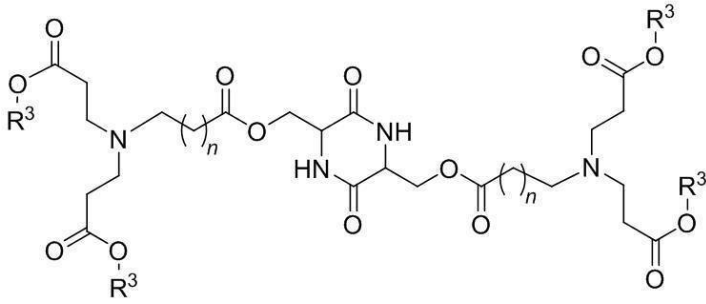
各 R² が、 H である、 項目 7 9 または 8 0 に記載のカチオン性脂質。

(項目 8 2)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 8 1 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 3 5】



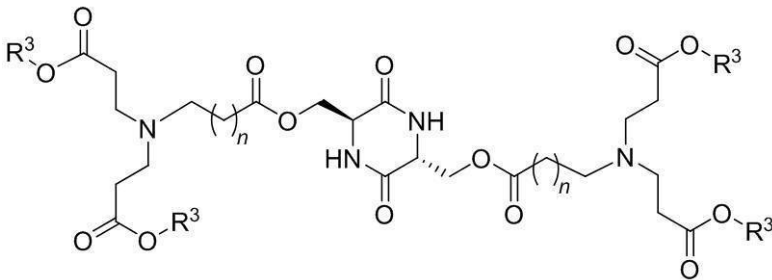
10

(III - c - 1)

(項目 8 3)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 8 2 に記載のカチオン性脂質。

【化 3 6】



20

(III - c ' - 1)

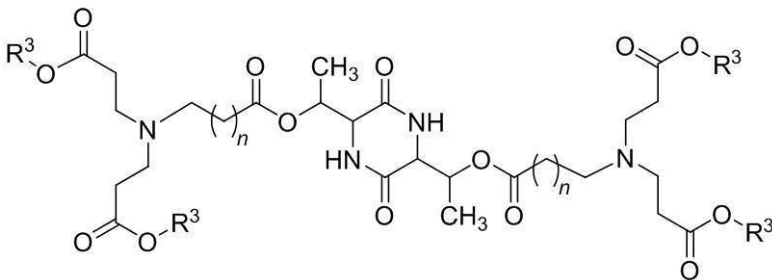
(項目 8 4)

各 R²が、CH₃である、項目 7 9 または 8 0 に記載のカチオン性脂質。

(項目 8 5)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 3 7】



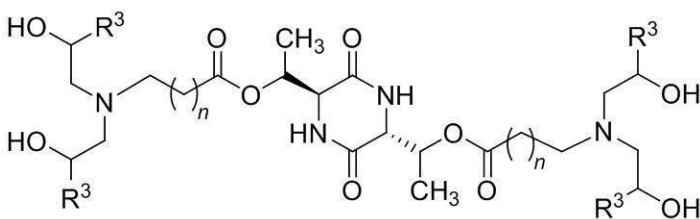
30

(III - c - 2)

任意で前記カチオン性脂質が、以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する、
項目 8 4 に記載のカチオン性脂質。

40

【化 3 8】



(III - c ' - 2)

50

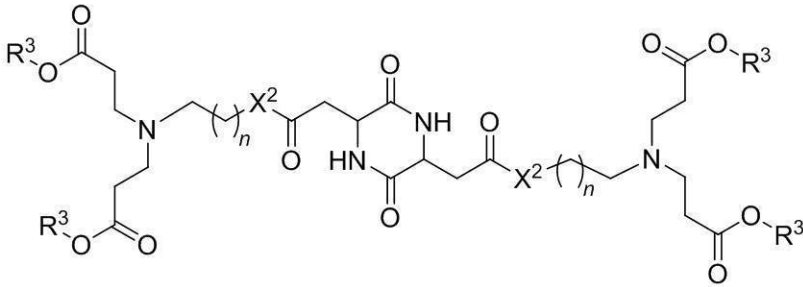
(項目 86)

(i) 各 n が、1 である、(ii) 各 n が、2 である、または (iii) 各 n が、3 である、項目 79 ~ 85 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 87)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 39】



10

(III - d)、

式中、

各 n は独立して、1 ~ 9 の値を有する整数であり、および

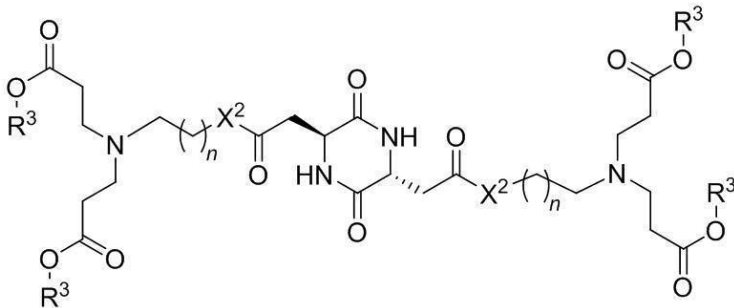
各 X^2 は独立して、O または S である、項目 61 ~ 63 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

(項目 88)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 87 に記載のカチオン性脂質。

【化 40】



30

(III - d')

(項目 89)

各 n が、1 である、項目 87 または 88 に記載のカチオン性脂質。

(項目 90)

各 n が、2 である、項目 87 または 88 に記載のカチオン性脂質。

(項目 91)

各 n が、3 である、項目 87 または 88 に記載のカチオン性脂質。

(項目 92)

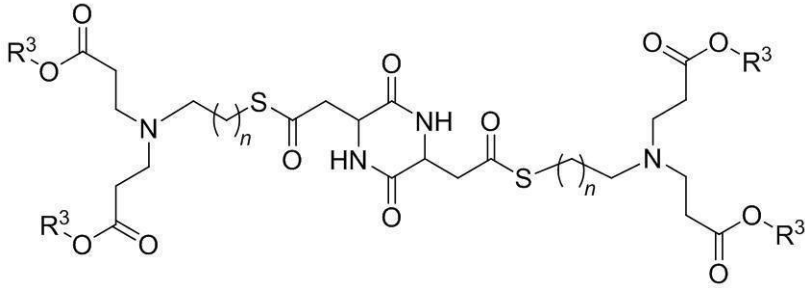
各 X^2 が、S である、項目 87 ~ 91 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

40

(項目 93)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 92 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 1】



10

(I I I - d - 1)

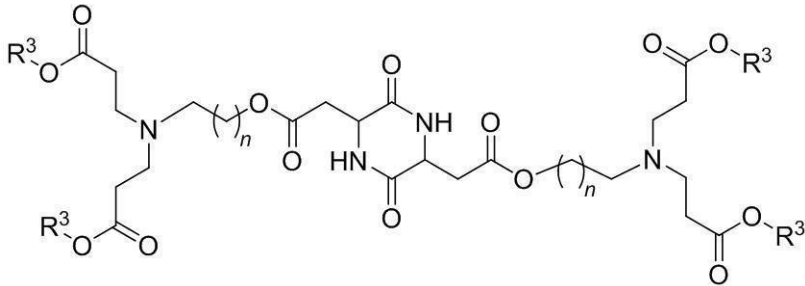
(項 目 9 4)

各 X^2 が、Oである、項目 8 7 ~ 9 1 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項 目 9 5)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 9 4 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 2】



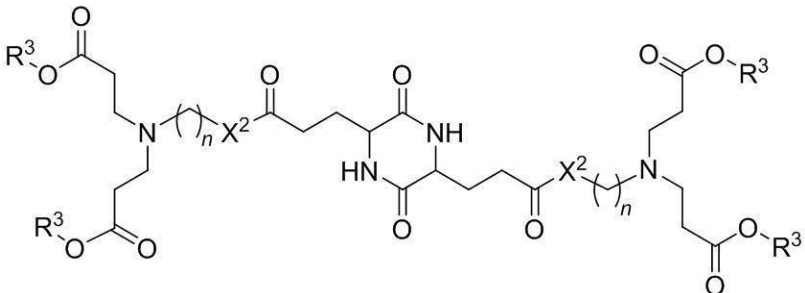
20

(I I I - d - 2)

(項 目 9 6)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 4 3】



30

(I I I - e)、

式中、

各 n は独立して、2 ~ 10 の値を有する整数であり、および

各 X^2 は独立して、O または S である、項目 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

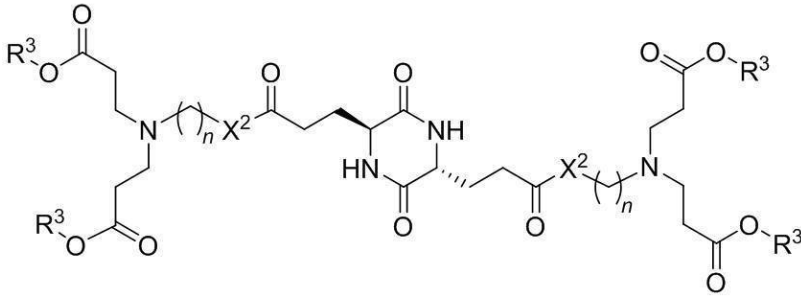
(項 目 9 7)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 9 6 に記載のカチオン性脂質。

40

50

【化 4 4】



10

(I I I - e ')

(項 目 9 8)

各 n が、2 である、項目 9 6 または 9 7 に記載のカチオン性脂質。

(項 目 9 9)

各 n が、3 である、項目 9 6 または 9 7 に記載のカチオン性脂質。

(項 目 1 0 0)

各 n が、4 である、項目 9 6 または 9 7 に記載のカチオン性脂質。

(項 目 1 0 1)

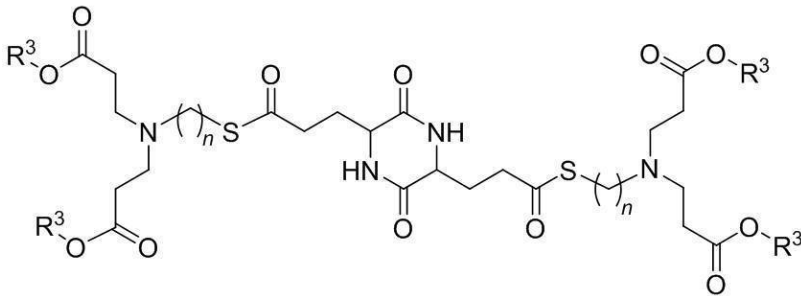
各 X² が、S である、項目 9 6 ~ 1 0 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項 目 1 0 2)

20

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 1 0 1 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 5】



30

(I I I - e - 1)

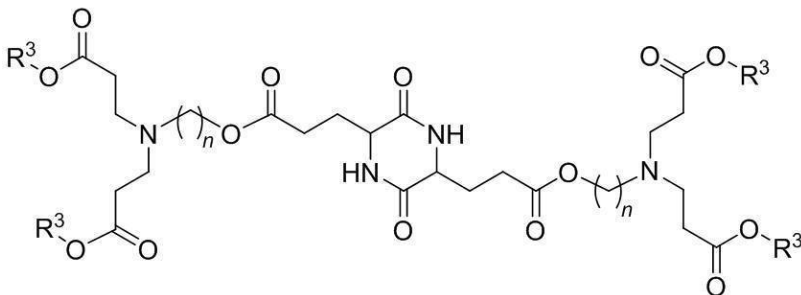
(項 目 1 0 3)

各 X² が、O である、項目 9 6 ~ 1 0 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項 目 1 0 4)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 1 0 3 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 6】



40

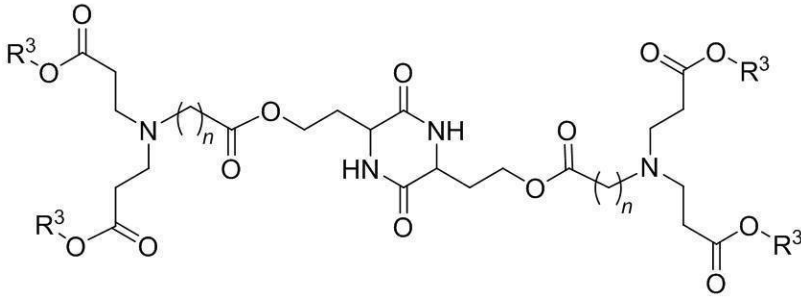
(I I I - e - 2)

(項 目 1 0 5)

50

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

【化 4 7】



10

(I I I - f)、

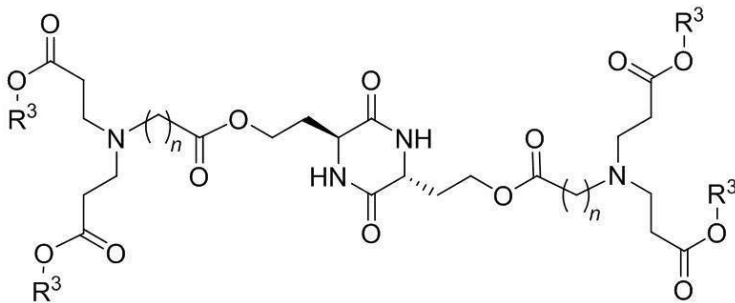
式中、

各 n は独立して、2 ~ 10 の値を有する整数である、項目 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 0 6)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 1 0 5 に記載のカチオン性脂質。

【化 4 8】



20

(I I I - f ')

(項目 1 0 7)

30

各 n が、2 である、項目 1 0 5 または 1 0 6 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 0 8)

各 n が、3 である、項目 1 0 5 または 1 0 6 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 0 9)

各 n が、4 である、項目 1 0 5 または 1 0 6 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 1 0)

各 R³ が独立して、C₆ - C₂₀ 脂肪族から選択される、項目 6 1 ~ 1 0 9 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

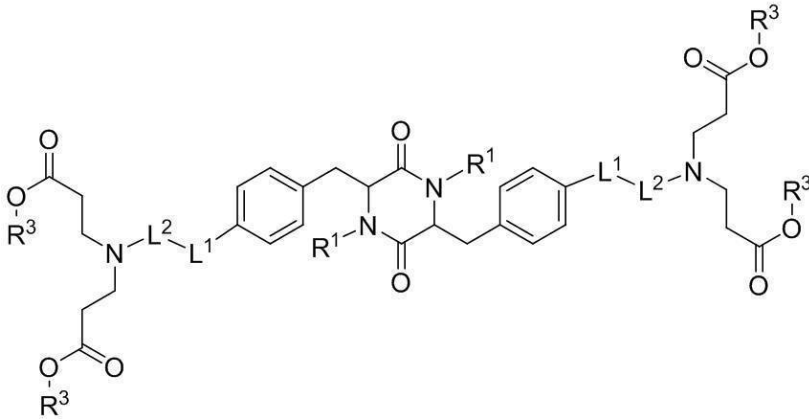
(項目 1 1 1)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し：

40

50

【化 4 9】



10

(I V)、

式中、

各 R^1 は独立して、H または $C_1 - C_6$ 脂肪族であり；各 L^1 は独立して、エステル、チオエステル、ジスルフィドまたは無水の基であり；各 L^2 は独立して、 $C_2 - C_{10}$ 脂肪族であり；各 R^3 は独立して、 $C_6 - C_{30}$ 脂肪族である、項目 6 1 ~ 6 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

(項目 1 1 2)

各 R^1 が独立して、H または $C_1 - C_6$ アルキルである、項目 1 1 1 に記載のカチオン性脂質。

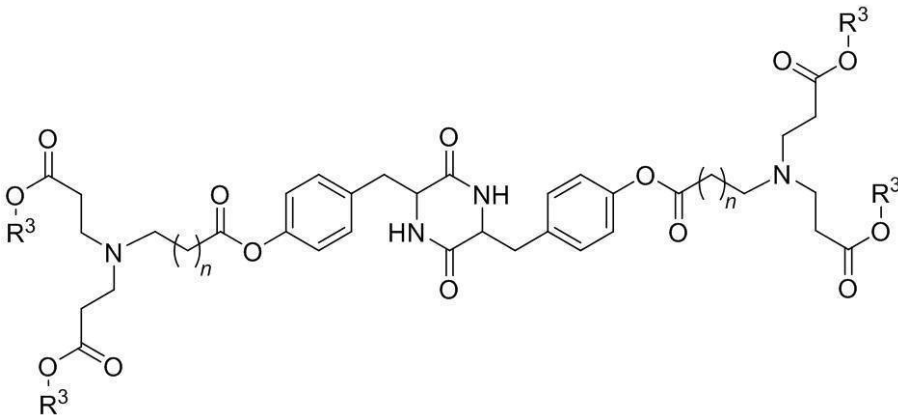
(項目 1 1 3)

各 R^1 が、H である、項目 1 1 1 または 1 1 2 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 1 4)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有し；

【化 5 0】



30

40

(I V - a)、

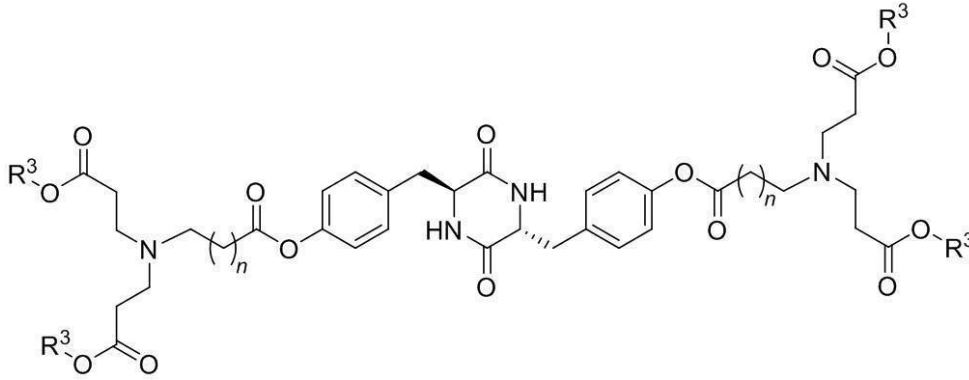
式中、各 n は、1 ~ 9 の値を有する整数である、項目 1 1 1 ~ 1 1 3 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 1 5)

以下またはその薬学的に許容可能な塩の構造を有する項目 1 1 4 に記載のカチオン性脂質。

50

【化 5 1】



10

(I V - a ')

(項目 1 1 6)

(i) 各 n が、 1 である、 (i i) 各 n が、 2 である、 または (i i i) 各 n が、 3 である、 項目 1 1 4 または 1 1 5 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 1 7)

各 R³ が独立して、 C₈ ~ C₂₀ 脂肪族から選択される、 項目 1 1 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 1 8)

各 R³ が、 非置換 C₆ - C₂₀ アルキルである、 項目 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

20

(項目 1 1 9)

各 R³ が、 C₆H₁₃、 C₈H₁₇、 C₁₀H₂₁、 C₁₂H₂₅、 C₁₄H₂₉、 C₁₆H₃₃ または C₁₈H₃₇ である、 項目 1 1 7 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 0)

各 R³ が、 C₁₀H₂₁ である、 項目 1 1 8 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 1)

各 R³ が、 置換 C₆ - C₂₀ アルキルである、 項目 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

30

(項目 1 2 2)

R³ が、 - O - C (O) R ' または - C (O) - O R ' である置換基を含み、 式中、 R ' が、 C₁ - C₁₆ アルキルである、 項目 1 2 1 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 3)

R³ が、 - O - C (O) C₇H₁₅ または - C (O) - O - (C H₂)₂ C H (C₅H₁₁)₂ により置換される C₆ - C₁₀ アルキルである、 項目 1 2 2 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 4)

各 R³ が、 - (C H₂)₉ - O - C (O) C₇H₁₅ または - (C H₂)₈ C (O) - O - (C H₂)₂ C H (C₅H₁₁)₂ である、 項目 1 2 2 に記載のカチオン性脂質。

40

(項目 1 2 5)

各 R³ が、 非置換 C₆ - C₂₀ アルケニルである、 項目 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 6)

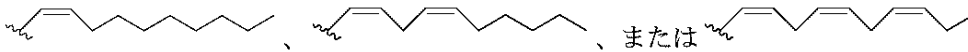
各 R³ が、 非置換モノアルケニル、 非置換ジエニル、 または非置換トリエニルである、 項目 1 2 5 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 7)

各 R³ が、 - (C H₂)_o R ' であり、 式中、 o が、 6、 7、 8、 9、 または 1 0 であり、 R ' が、

50

【化 5 2】



である、項目 1 2 5 または 1 2 6 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 8)

各 R^3 が、 $C_{16}H_{31}$ または $C_{16}H_{29}$ である、項目 1 2 5 に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 2 9)

各 R^3 が、非置換 $C_6 - C_{20}$ アルキニルである、項目 1 ~ 1 1 6 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質。

(項目 1 3 0)

化合物 1 ~ 5 5 2 のいずれか一つであるカチオン性脂質、またはその薬学的に許容可能な塩。

(項目 1 3 1)

リボソーム内に封入されたタンパク質をコードする mRNA を含む組成物であって、前記リボソームが、項目 1 ~ 1 3 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、組成物。

(項目 1 3 2)

嚢胞性線維症膜コンダクタンス制御因子 (CFTR) タンパク質をコードする mRNA を含む、項目 1 3 1 に記載の組成物。

(項目 1 3 3)

オルニチントランスカルバミラーゼ (OTC) タンパク質をコードする mRNA を含む、項目 1 3 1 に記載の組成物。

(項目 1 3 4)

リボソーム内に封入された核酸を含む組成物であって、前記リボソームが、項目 1 ~ 1 3 0 のいずれか一項に記載のカチオン性脂質を含む、組成物。

(項目 1 3 5)

前記核酸が、ペプチドまたはタンパク質をコードする mRNA である、項目 1 3 4 に記載の組成物。

(項目 1 3 6)

前記 mRNA が、対象の肺もしくは肺細胞への送達またはその治療で使用するためのペプチドまたはタンパク質をコードする、項目 1 3 5 に記載の組成物。

(項目 1 3 7)

前記 mRNA が、嚢胞性線維症膜コンダクタンス制御因子 (CFTR) タンパク質をコードする、項目 1 3 6 に記載の組成物。

(項目 1 3 8)

前記 mRNA が、対象の肝臓もしくは肝臓細胞への送達またはその治療で使用するためのペプチドまたはタンパク質をコードする、項目 1 3 5 に記載の組成物。

(項目 1 3 9)

前記 mRNA が、オルニチントランスカルバミラーゼ (OTC) タンパク質をコードする、項目 1 3 8 に記載の組成物。

(項目 1 4 0)

前記 mRNA が、ワクチンにおける使用のためのペプチドまたはタンパク質をコードする、項目 1 3 1 または 1 3 4 に記載の組成物。

(項目 1 4 1)

前記 mRNA が、抗原をコードする、項目 1 4 0 に記載の組成物。

(項目 1 4 2)

一つ以上のカチオン性脂質、一つ以上の PEG 修飾脂質、および / または一つ以上のヘルパー脂質を含む、項目 1 3 1 ~ 1 4 1 のいずれか一項に記載の組成物。

(項目 1 4 3)

10

20

30

40

50

前記一つ以上のヘルパー脂質が、1,2-ジエルコイル-sn-グリセロ-3-ホスホ
エタノールアミン(D E P E)である、項目142に記載の組成物。

(項目144)

前記一つ以上のヘルパー脂質が、ジオレオイルホスファチジルエタノールアミン(D O
P E)である、項目143に記載の組成物。

10

20

30

40

50