

【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6年7月18日(2024.7.18)

【国際公開番号】WO2022/016070

【公表番号】特表2023-535365(P2023-535365A)

【公表日】令和5年8月17日(2023.8.17)

【年通号数】公開公報(特許)2023-154

【出願番号】特願2023-503121(P2023-503121)

【国際特許分類】

C 07 C 229/24(2006.01)

A 61 K 9/51(2006.01)

A 61 K 47/18(2017.01)

A 61 K 47/24(2006.01)

A 61 K 47/28(2006.01)

A 61 K 47/34(2017.01)

A 61 K 39/00(2006.01)

A 61 K 39/12(2006.01)

A 61 K 31/7105(2006.01)

A 61 K 48/00(2006.01)

A 61 P 31/12(2006.01)

B 82 Y 5/00(2011.01)

C 07 C 237/06(2006.01)

10

20

30

40

50

【F I】

C 07 C 229/24 C S P

A 61 K 9/51

A 61 K 47/18

A 61 K 47/24

A 61 K 47/28

A 61 K 47/34

A 61 K 39/00 H

A 61 K 39/00 G

A 61 K 39/12

A 61 K 31/7105

A 61 K 48/00

A 61 P 31/12

B 82 Y 5/00

C 07 C 237/06

【手続補正書】

【提出日】令和6年7月8日(2024.7.8)

【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

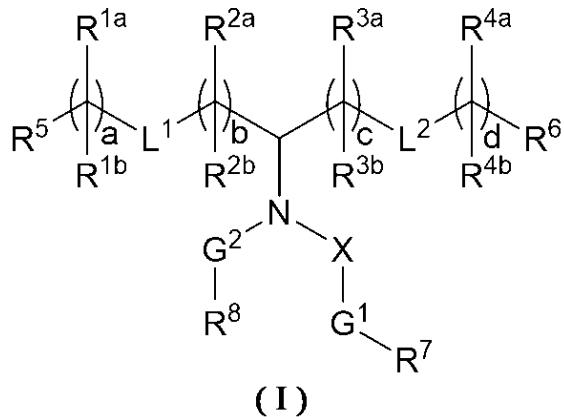
【補正の内容】

【特許請求の範囲】

【請求項1】

式(I)：

【化1】



10

[式中、

 G^1 および G^2 は、それぞれ独立して、C₁ - C₆ アルキレンであり； L^1 および L^2 は、それぞれ独立して、-O(C=O)- または -(C=O)O- であります；R^{1a} および R^{1b} は、出現するごとに独立して、(a) H、または C₁ - C₁₂ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{1a} は、H、または C₁ - C₁₂ アルキルであり、R^{1b} は、それが結合している炭素原子と一緒にになって、隣接する R^{1b} およびそれが結合している炭素原子と一緒にになって R^{1b} が取られて、炭素 - 炭素二重結合を形成し；R^{2a} および R^{2b} は、出現するごとに独立して、(a) H、または C₁ - C₁₂ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{2a} は、H、または C₁ - C₁₂ アルキルであり、R^{2b} は、それが結合している炭素原子と一緒にになって、隣接する R^{2b} およびそれが結合している炭素原子と一緒にになって R^{2b} が取られて、炭素 - 炭素二重結合を形成し；R^{3a} および R^{3b} は、出現するごとに独立して、(a) H、または C₁ - C₁₂ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{3a} は、H、または C₁ - C₁₂ アルキルであり、R^{3b} は、それが結合している炭素原子と一緒にになって、隣接する R^{3b} およびそれが結合している炭素原子と一緒にになって R^{3b} が取られて、炭素 - 炭素二重結合を形成し；R^{4a} および R^{4b} は、出現するごとに独立して、(a) H、または C₁ - C₁₂ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{4a} は、H、または C₁ - C₁₂ アルキルであり、R^{4b} は、それが結合している炭素原子と一緒にになって、隣接する R^{4b} およびそれが結合している炭素原子と一緒にになって R^{4b} が取られて、炭素 - 炭素二重結合を形成し；R⁵ および R⁶ は、それぞれ独立して、H、またはメチルであり；R⁷ は、-O(C=O)R¹⁰、-(C=O)OR¹⁰、-NR⁹(C=O)R¹⁰、または-(C=O)NR⁹R¹⁰ であります；R⁸ は、OH、-N(R¹¹)(C=O)R¹²、-(C=O)NR¹¹R¹²、-NR¹¹R¹²、-(C=O)OR¹²、または-O(C=O)R¹² であります；R⁹ は、H、または C₁ - C₁₅ アルキルであり；R¹⁰ は、C₁ - C₁₅ アルキルであり；R¹¹ は、H、または C₁ - C₆ アルキルであり；R¹² は、C₁ - C₆ アルキルであり；

X は、-(C=O)-、または直接結合であり；および、

a、b、c、および d は、それぞれ独立して、1 ~ 24 の整数であり；

ここで、各アルキルおよびアルキレンは、独立して、1つ以上のハロ、好ましくはフルオロで任意に置換されていてもよい。]

の構造で示される化合物、またはその薬学的に許容される塩、互変異性体、または立体異性体。

【請求項 2】

20

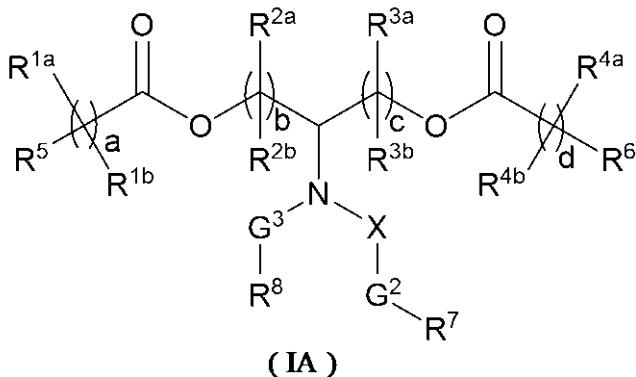
30

40

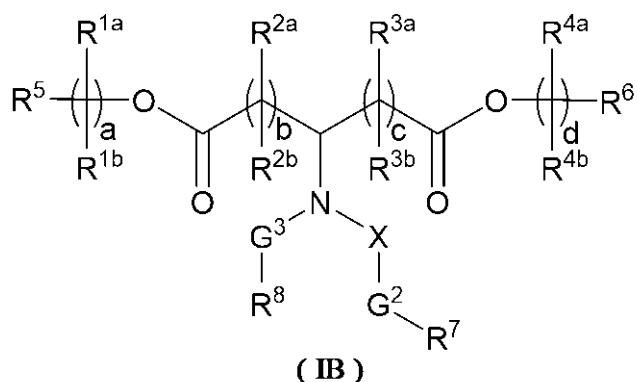
50

下記の構造 (IA) または (IB) :

【化 2】



又は



10

20

のうちの 1 つで示される、請求項 1 に記載の化合物、またはその薬学的に許容される塩、互変異性体、または立体異性体。

【請求項 3】

G¹ が、C₂ - C₃ アルキレンまたはC₄ - C₆ アルキレンである、請求項 1 または 2 に記載の化合物。

30

【請求項 4】

G² が、C₂ - C₄ アルキレン、C₂ - C₃ アルキレン、またはC₃ - C₄ アルキレンである、請求項 1 ~ 3 のいずれか 1 項に記載の化合物。

【請求項 5】

R⁷ が、-O(C=O)R¹⁰、または-(C=O)OR¹⁰ であり、好ましくは、R¹⁰ が、直鎖C₁ - C₁₅ アルキルであり、R¹⁰ が、直鎖C₆ - C₁₀ アルキルであり、R¹⁰ が、メチルであり、R¹⁰ が、分岐C₂ - C₁₅ アルキルであり、または、R¹⁰ が、分岐C₁₀ - C₁₅ アルキルである、請求項 4 に記載の化合物。

【請求項 6】

R⁷ が、-NR⁹(C=O)、または-(C=O)NR⁹R¹⁰ であり、好ましくは、R⁹ が、H であり、R⁹ およびR¹⁰ が、それぞれ独立して、C₆ - C₁₀ アルキルである、請求項 4 に記載の化合物。

40

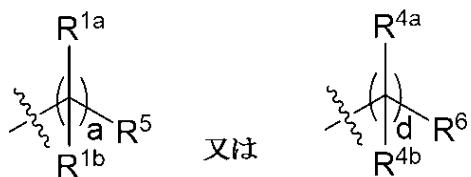
【請求項 7】

R^{1a}、R^{1b}、R^{2a}、R^{2b}、R^{3a}、R^{3b}、R^{4a}、およびR^{4b} が、出現するごとに独立して、H、またはC₁ - C₁₂ アルキルであり、好ましくは、i) R^{2a}、R^{2b}、R^{3a}、およびR^{3b} が、出現するごとに、H であり、ii) R^{1a} およびR^{4a} が、出現するごとに、H であり、iii) R^{1b} およびR^{4b} の少なくとも 1 つが、C₁ - C₈ アルキルであり、iv) C₁ - C₈ アルキルが、メチル、エチル、n-ブロピル、イソブロピル、n-ブチル、イソブチル、tert-ブチル、n-ヘキシル、またはn-オクチルであり

50

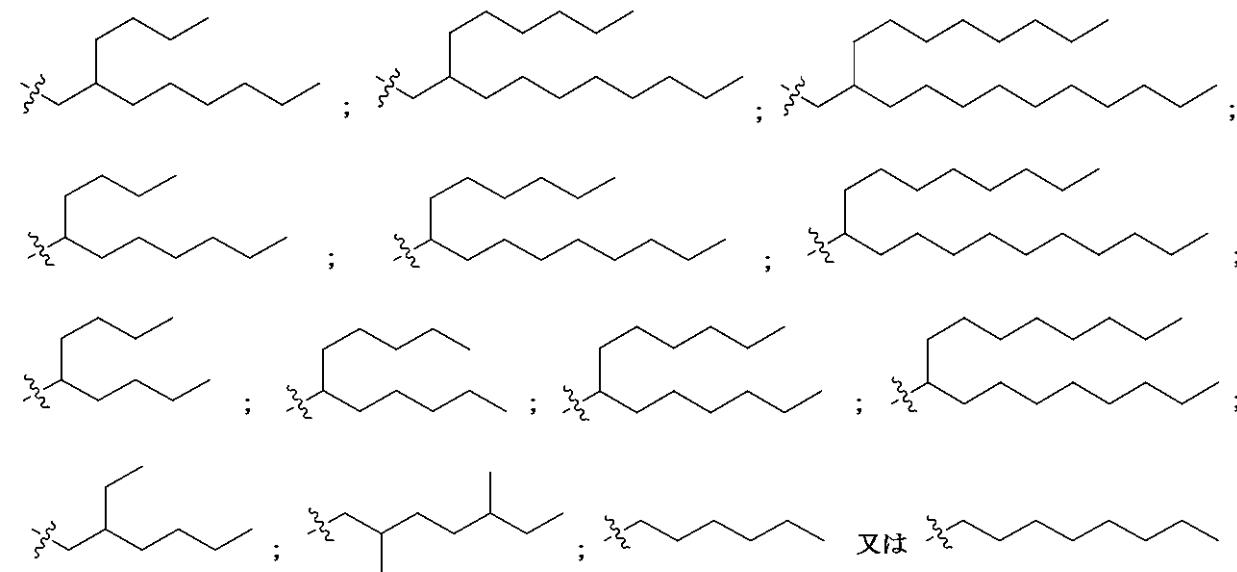
、 v) 下記 :

【化 3】



が、あるいはその両方が、独立して、下記 :

【化 4】



で示される構造の 1 つである、請求項 1 ~ 6 のいずれか 1 項に記載の化合物。

【請求項 8】

a、b、c、および d が、それぞれ独立して、2 ~ 12 の整数であり、好ましくは、a
、b、c、および d が、それぞれ独立して、4 ~ 10、5 ~ 10、6 ~ 10、4 ~ 9、5
~ 9、または 6 ~ 9 の整数である、請求項 1 ~ 7 のいずれか 1 項に記載の化合物。 30

【請求項 9】

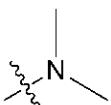
R⁵ または R⁶ の 1 つが、メチルであり、好ましくは、R⁵ および R⁶ のそれぞれが、
メチルである、請求項 1 ~ 8 のいずれか 1 項に記載の化合物。

【請求項 10】

R⁸ が、下記 :

- OH、または

【化 5】



で示される構造の 1 つである、請求項 1 ~ 9 のいずれか 1 項に記載の化合物。

【請求項 11】

下記構造 :

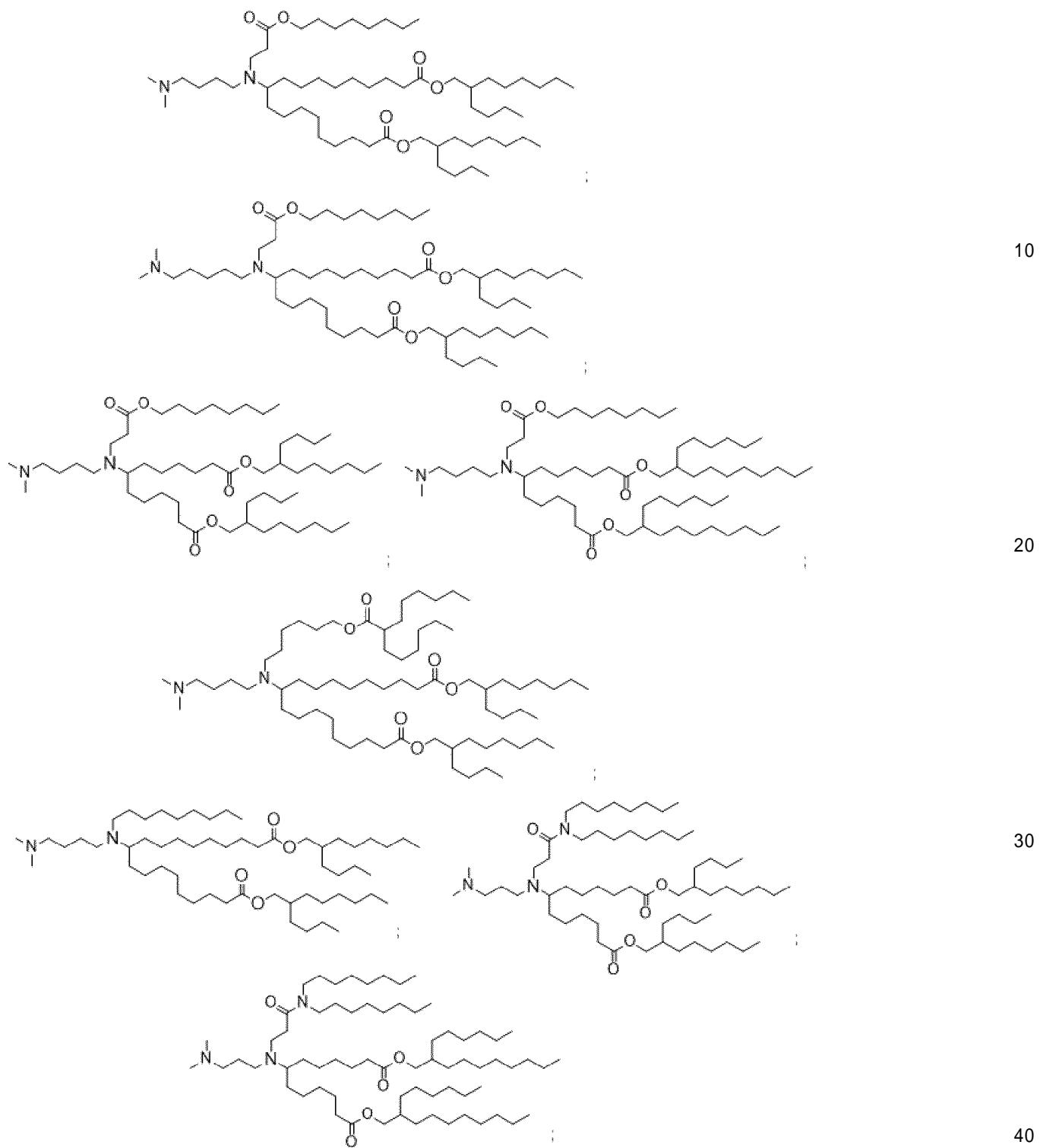
10

20

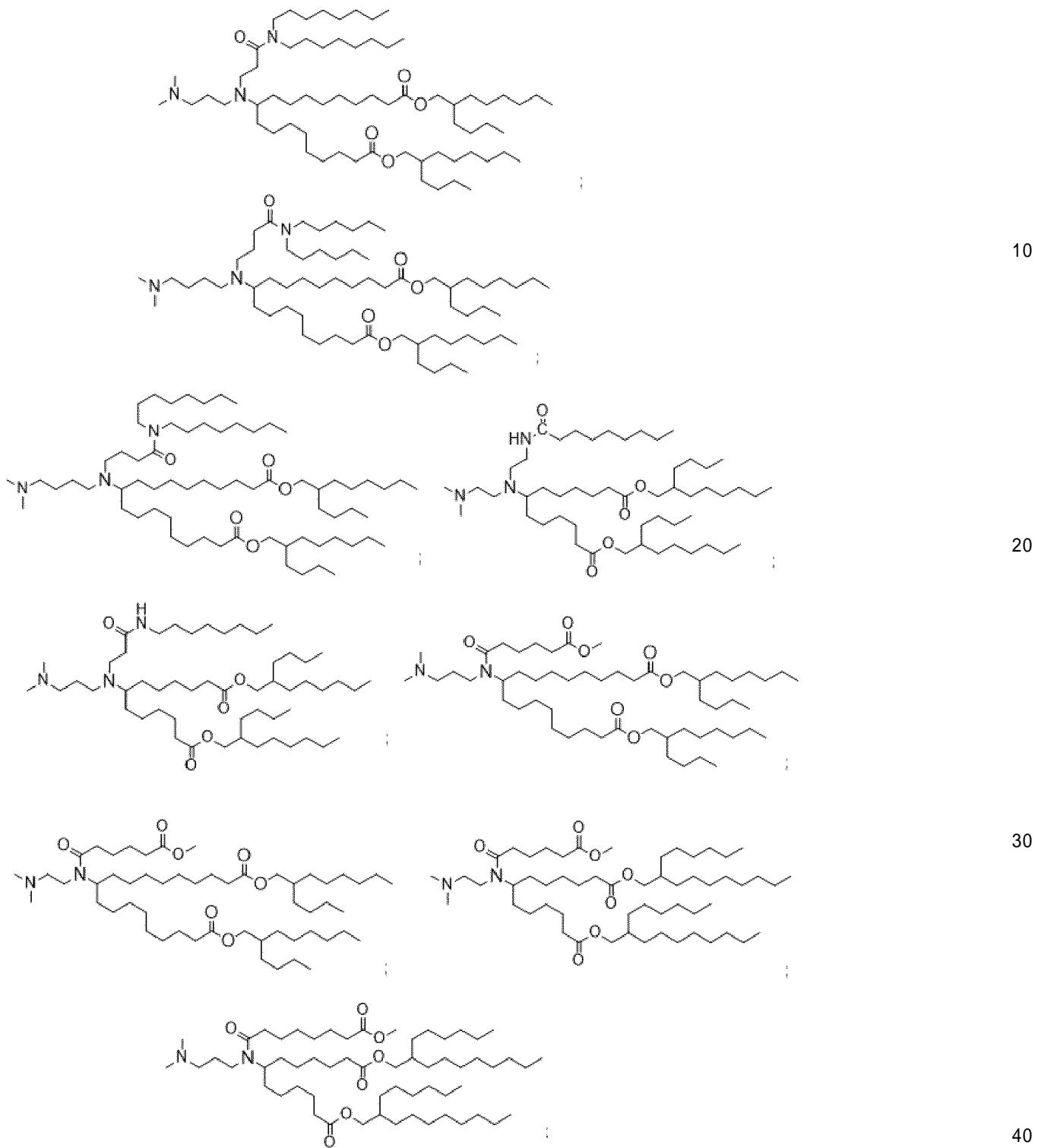
40

50

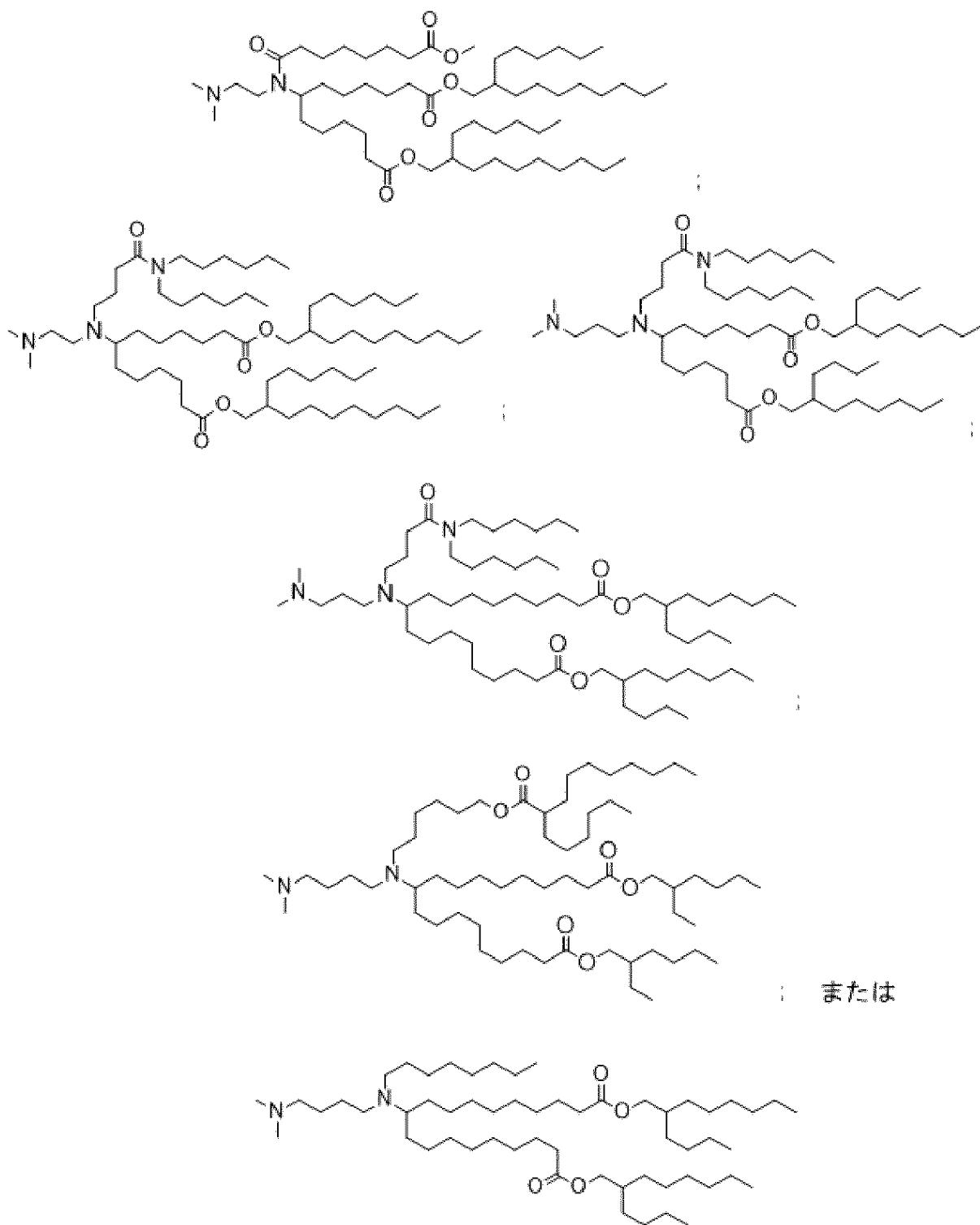
【化 6】



【化 7】



【化 8】



のいずれか 1 つで示される、請求項 1 記載の化合物。

【請求項 1 2】

請求項 1 ~ 1 1 のいずれか 1 項に記載の化合物、および治療剤を含む、脂質ナノ粒子。

【請求項 1 3】

治療剤が、核酸を含み、好ましくは、核酸が、アンチセンス R N A およびメッセンジャー R N A から選択される、請求項 1 2 に記載の脂質ナノ粒子。

【請求項 1 4】

請求項 1 2 または 1 3 のいずれかに記載の脂質ナノ粒子、および薬学的に許容される希釈剤または賦形剤を含む、医薬組成物。

【請求項 15】

疾患を治療または予防する方法における使用のための、好ましくは、ウイルス病原体に対するワクチン接種を必要とする患者にワクチン接種する方法における使用のための、請求項12または13のいずれかに記載の脂質ナノ粒子、または請求項14に記載の医薬組成物であって、治療剤が、ウイルス抗原、またはウイルス抗原を転写できる核酸である、該脂質ナノ粒子または該医薬組成物。

10

20

30

40

50