

【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】

10

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

20

【 F I 】

C 0 7 C 2 2 9 / 2 4 C S P
A 6 1 K 9 / 5 1
A 6 1 K 4 7 / 1 8
A 6 1 K 4 7 / 2 4
A 6 1 K 4 7 / 2 8
A 6 1 K 4 7 / 3 4
A 6 1 K 3 9 / 0 0 H
A 6 1 K 3 9 / 0 0 G
A 6 1 K 3 9 / 1 2
A 6 1 K 3 1 / 7 1 0 5
A 6 1 K 4 8 / 0 0
A 6 1 P 3 1 / 1 2
B 8 2 Y 5 / 0 0
C 0 7 C 2 3 7 / 0 6

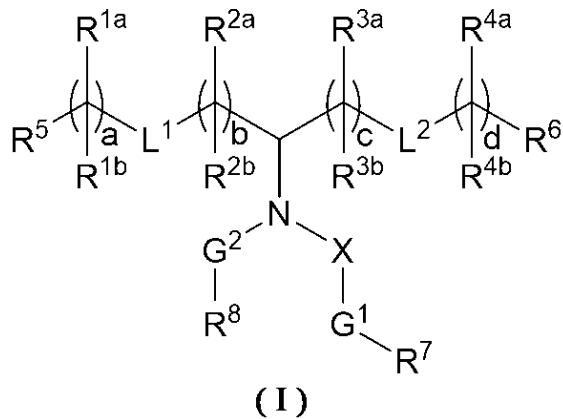
30

【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) :

40

50

【化 1】



10

[式中、

G^1 および G^2 は、それぞれ独立して、 $C_1 - C_6$ 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；

R^{1a} および R^{1b} は、出現するごとに独立して、(a) H、または $C_1 - C_{12}$ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{1a} は、H、または $C_1 - C_{12}$ 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あって、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あって R^{1b} が取られて、炭素 - 炭素二重結合を形成し；

20

R^{2a} および R^{2b} は、出現するごとに独立して、(a) H、または $C_1 - C_{12}$ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{2a} は、H、または $C_1 - C_{12}$ 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あって、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あって 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 $C_1 - C_{12}$ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{3a} は、H、または $C_1 - C_{12}$ 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あって、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あって R^{3b} が取られて、炭素 - 炭素二重結合を形成し；

30

R^{4a} および R^{4b} は、出現するごとに独立して、(a) H、または $C_1 - C_{12}$ アルキルであるか；あるいは、(b) R^{4a} は、H、または $C_1 - C_{12}$ 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あって、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あって R^{4b} が取られて、炭素 - 炭素二重結合を形成し；

R^5 および R^6 は、それぞれ独立して、H、またはメチルであり；

R^7 は、 $-O(C=O)R^{10}$ 、 $-(C=O)OR^{10}$ 、 $-NR^9(C=O)R^{10}$ 、または $-(C=O)NR^9R^{10}$ であり；

R^8 は、OH、 $-N(R^{11})(C=O)R^{12}$ 、 $-(C=O)NR^{11}R^{12}$ 、 $-NR^{11}R^{12}$ 、 $-(C=O)OR^{12}$ 、または $-O(C=O)R^{12}$ であり；

R^9 は、H、または $C_1 - C_{15}$ アルキルであり；

40

R^{10} は、 $C_1 - C_{15}$ アルキルであり；

R^{11} は、H、または $C_1 - C_6$ アルキルであり；

R^{12} は、 $C_1 - C_6$ 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 つ以上の八口、好ましくはフルオロで任意に置換されていてもよい。]

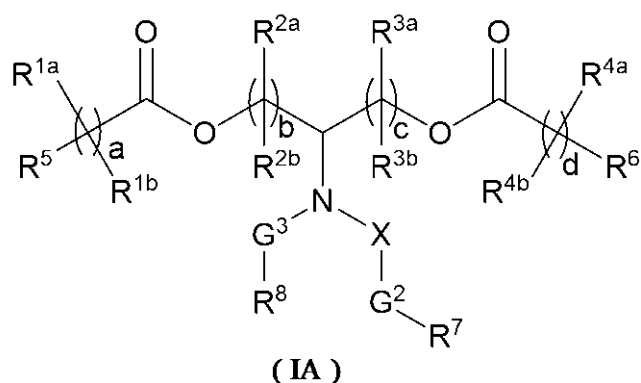
の構造で示される化合物、またはその薬学的に許容される塩、互変異性体、または立体異性体。

【請求項 2】

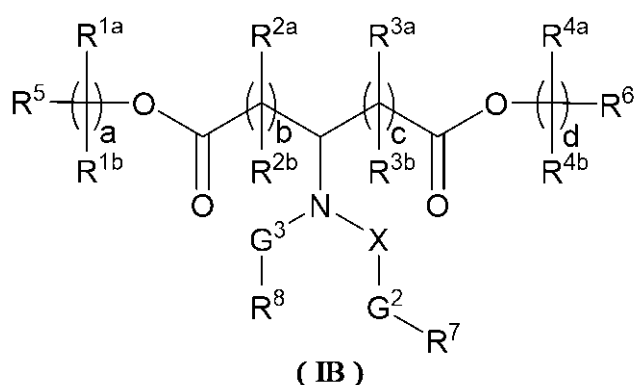
50

下記の構造 (I A) または (I B) :

【化 2】



又は



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。

【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) O R¹⁰ 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】

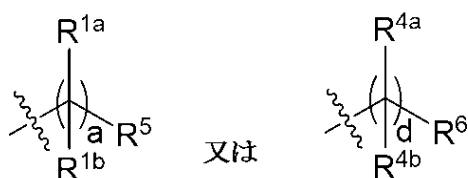
R⁷ が、- N R⁹ (C = O)、または - (C = O) N R⁹ R¹⁰ であり、好ましくは、R⁹ が、H であり、R⁹ および R¹⁰ が、それぞれ独立して、C₆ - C₁₀ アルキルである、請求項 4 に記載の化合物。

【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 - プロピル、イソプロピル、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

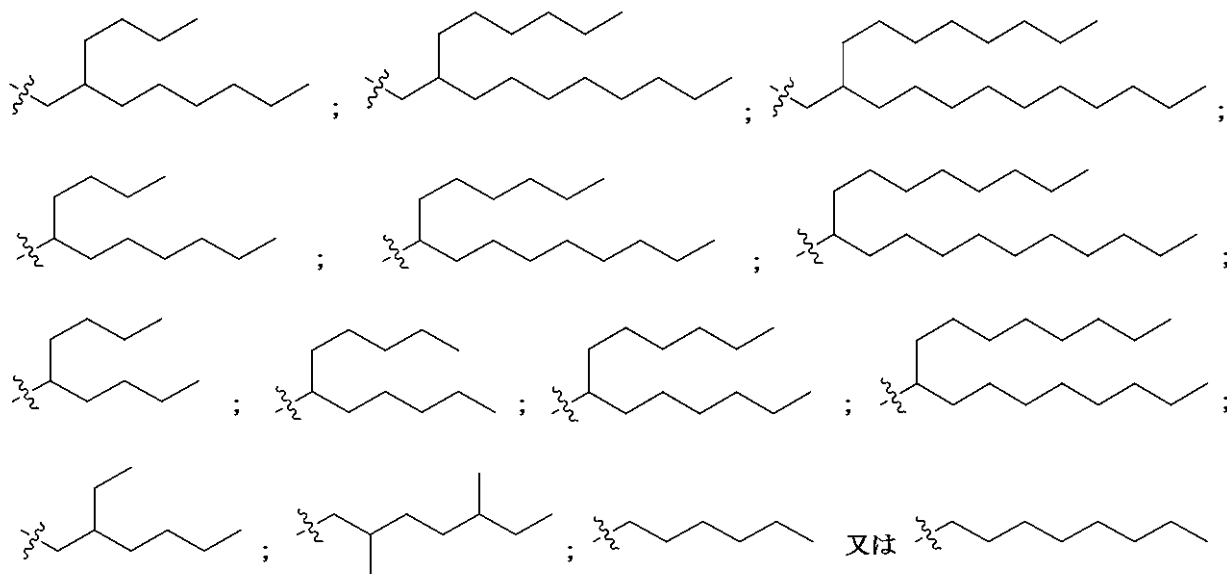
、v) 下記：

【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 30
、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。

【請求項 9】

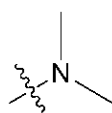
R⁵ または R⁶ の 1 つが、メチルであり、好ましくは、R⁵ および R⁶ のそれぞれが、
メチルである、請求項 1 ～ 8 のいずれか 1 項に記載の化合物。

【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：

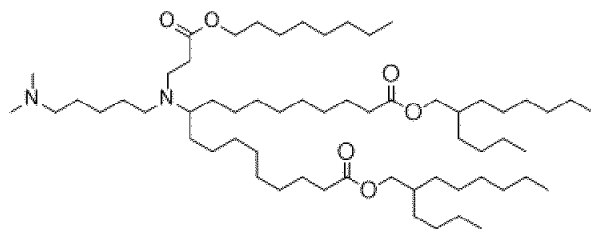
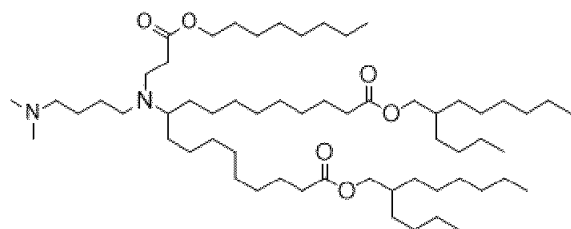
10

20

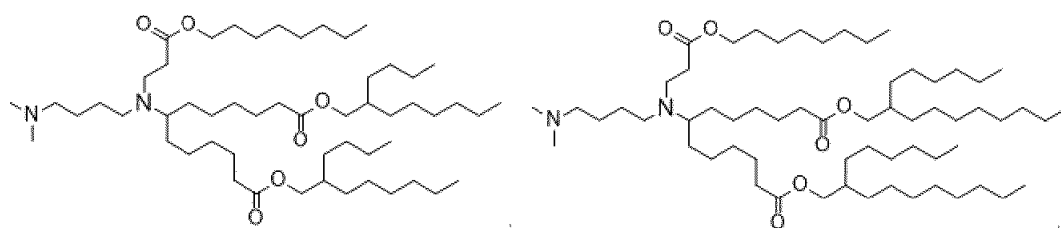
40

50

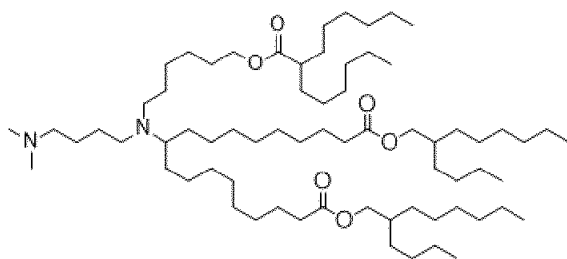
【化 6】



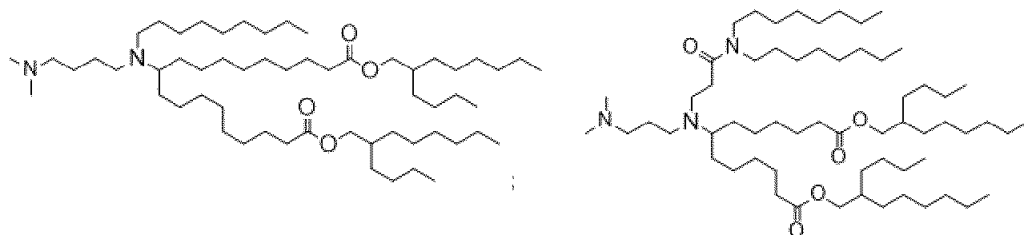
10



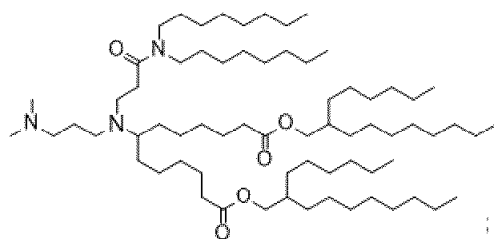
20



30

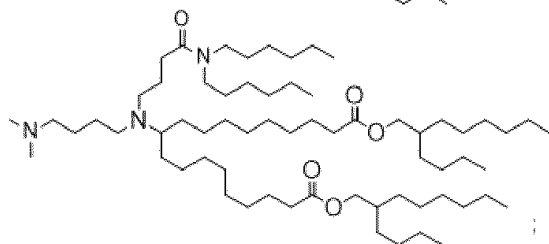
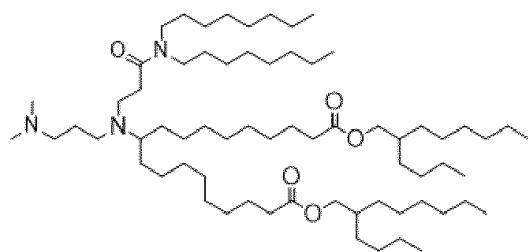


40

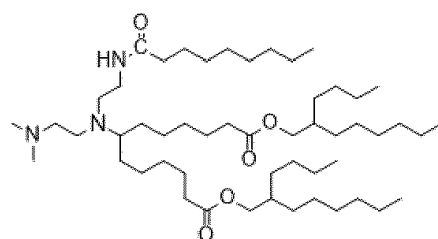
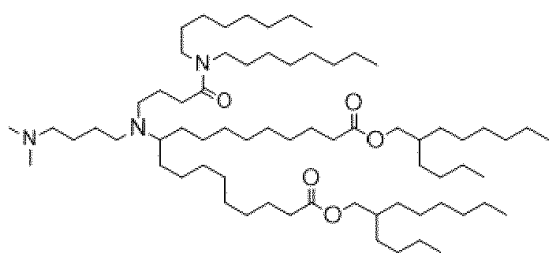


50

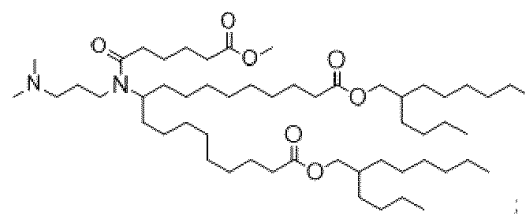
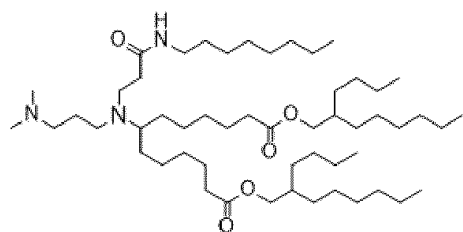
【化 7】



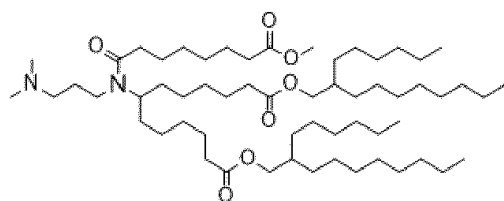
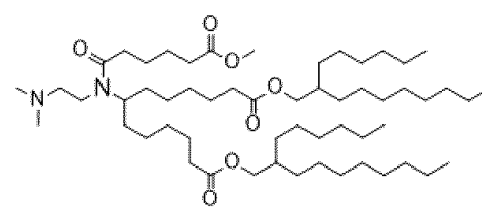
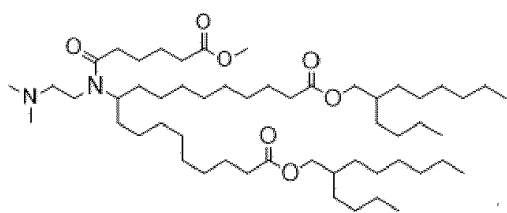
10



20



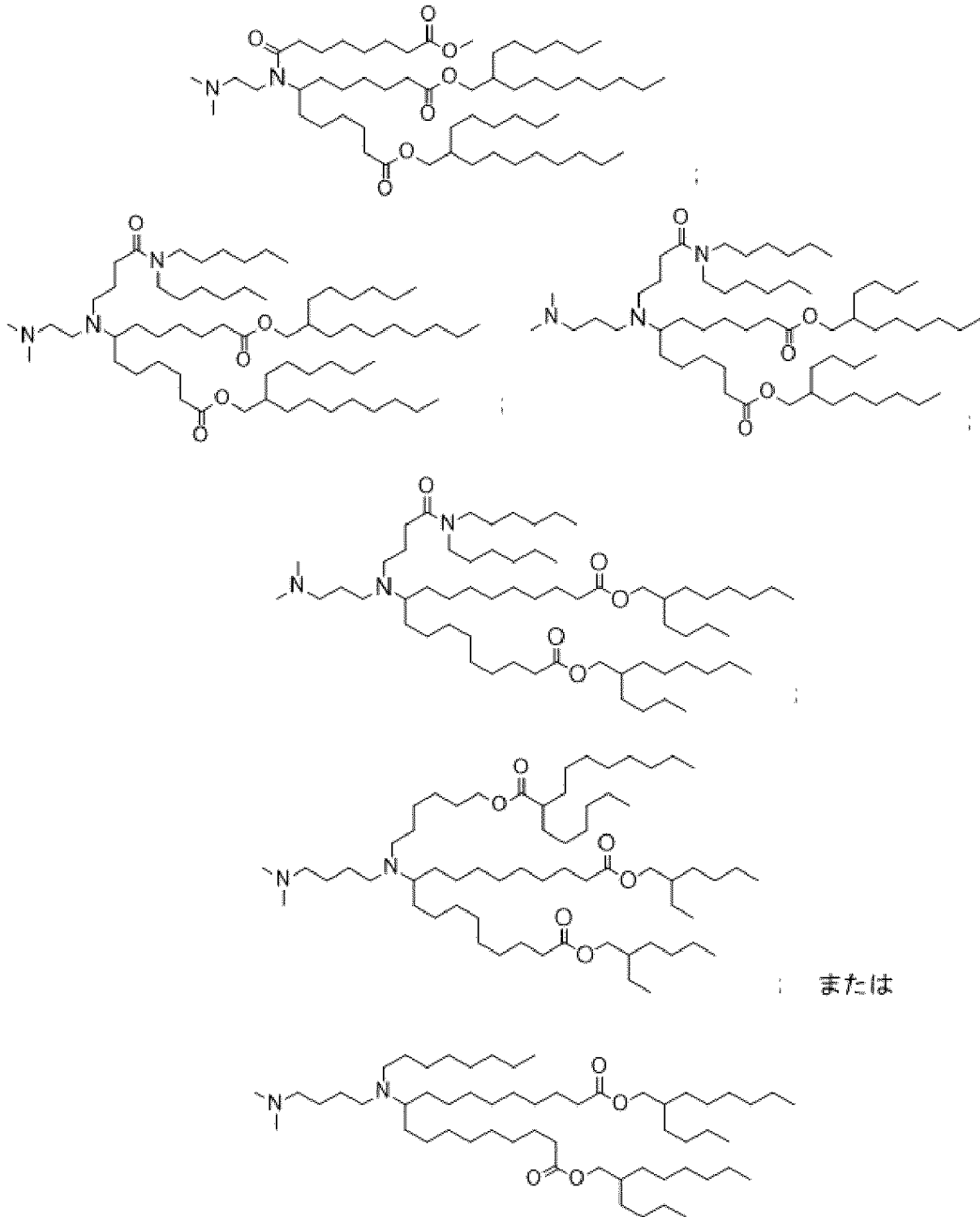
30



40

50

【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 RNA およびメッセンジャー RNA 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