【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10月2日(2024.10.2)

【国際公開番号】WO2022/071582
【出願番号】特願2022-554148(P2022-554148)
【国際特許分類】
Ａ６１Ｋ 47/18(2017.01)
Ａ６１Ｋ 47/44(2017.01)
Ａ６１Ｋ 9/14(2006.01)
Ａ６１Ｋ 47/28(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/7088(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/713(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/7105(2006.01)
Ａ６１Ｋ 31/711(2006.01)
Ａ６１Ｋ 48/00(2006.01)
Ａ６１Ｐ 1/16(2006.01)
Ａ６１Ｐ 43/00(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/113(2010.01)
Ｃ１２Ｎ 15/11(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/63(2006.01)
Ｃ１２Ｎ 15/88(2006.01)
Ａ０１Ｋ 67/027(2024.01)
Ｃ１２Ｎ 5/10(2006.01)
【ＦＩ】
Ａ６１Ｋ 47/18
Ａ６１Ｋ 47/44 ＺＮＡ
Ａ６１Ｋ 9/14
Ａ６１Ｋ 47/28
Ａ６１Ｋ 31/7088
Ａ６１Ｋ 31/713
Ａ６１Ｋ 31/7105
Ａ６１Ｋ 31/711
Ａ６１Ｋ 48/00
Ａ６１Ｐ 1/16
Ａ６１Ｐ 43/00 １０５
Ｃ１２Ｎ 15/113 Ｚ
Ｃ１２Ｎ 15/11 Ｚ
Ｃ１２Ｎ 15/63 Ｚ
Ｃ１２Ｎ 15/88 Ｚ
Ａ０１Ｋ 67/027
Ｃ１２Ｎ 5/10

【手続補正書】
【提出日】令和6年9月24日(2024.9.24)
【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】
下記の式(Ｉ):
【化１】

$$(R^1)(R^2)C(OH)-(CH_2)a-(O-CO)b-X \qquad (I)$$

〔式(Ｉ)中、ａは３～５の整数を示し;ｂは０又は１を示し;Ｒ^{1}及びＲ^{2}は、それぞれ独立して下記一般式(Ａ):
【化２】

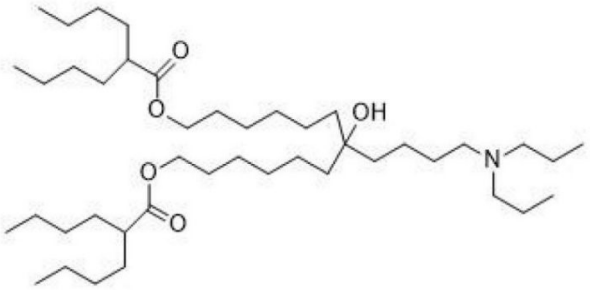
$$(R^{11})(R^{12})-CH-(CO-O)c-(CH_2)v- \qquad (A)$$

(式(Ａ)中、Ｒ^{11}及びＲ^{12}は、それぞれ独立して、直鎖状又は分岐鎖状のＣ$_{5～15}$アルキル基を示し;ｃは０又は１を示し;ｖは４～１２の整数を示す)
で表される基を示し;Ｘは、下記一般式(Ｂ):
【化３】

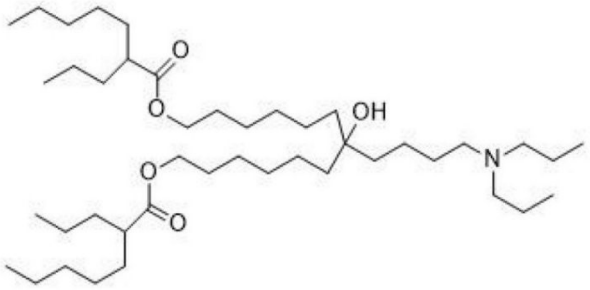
$$-(CH_2)d-N(R^3)(R^4) \qquad (B)$$

(式(Ｂ)中、ｄは０～３の整数を示し;Ｒ^{3}及びＲ^{4}は、それぞれ独立に、Ｃ$_{1～4}$アルキル基又はＣ$_{2～4}$アルケニル基(該Ｃ$_{1～4}$アルキル基又はＣ$_{2～4}$アルケニル基は、１個又は２個の水素原子がフェニル基に置換されていてもよい)を示すが、Ｒ^{3}及びＲ^{4}は互いに結合して５～７員非芳香族ヘテロ環(該環の１個又は２個の水素原子が、Ｃ$_{1～4}$アルキル基又はＣ$_{2～4}$アルケニル基に置換されていてもよい)を形成してもよい)で表される基又は５～７員非芳香族ヘテロ環基(ただし、該基は炭素原子により(Ｏ-ＣＯ)ｂ-に結合し、該環の１個又は２個の水素原子が、Ｃ$_{1～4}$アルキル基又はＣ$_{2～4}$アルケニル基に置換されていてもよい)を示す〕
で表される、ｐＨ感受性カチオン性脂質、その立体異性体又は立体異性体の混合物。
【請求項２】
前記ｐＨ感受性カチオン性脂質が、下記式で示される、請求項１記載のｐＨ感受性カチオン性脂質、その立体異性体又は立体異性体の混合物:

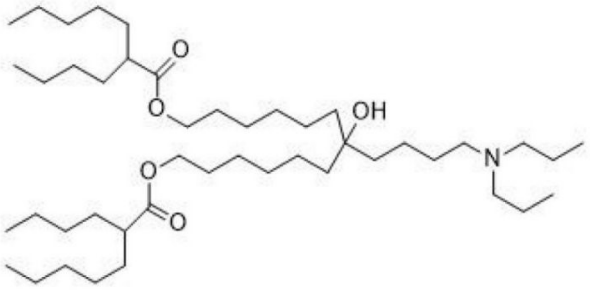
【化４－１】



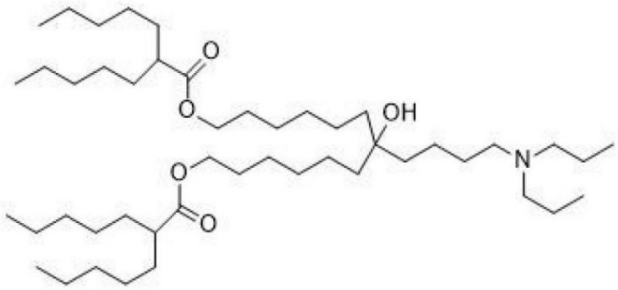
ＣＬ４Ｆ　６－４、



ＣＬ４Ｆ　７－３、

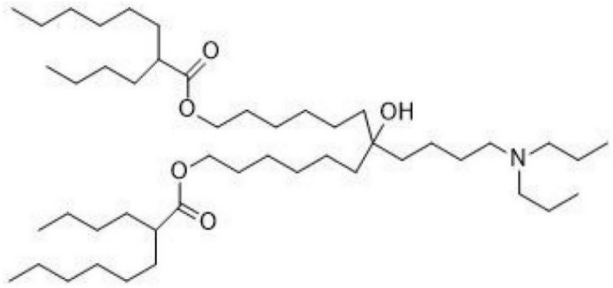


ＣＬ４Ｆ　７－４、

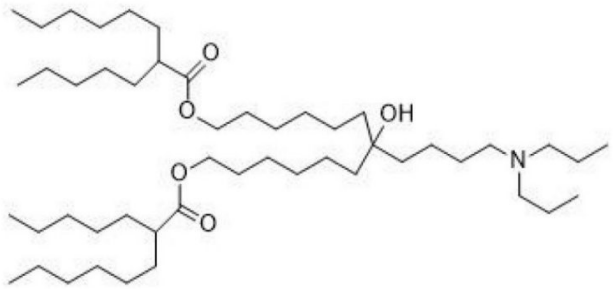


ＣＬ４Ｆ　７－５、

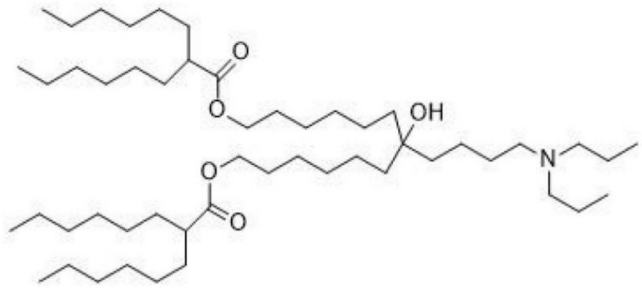
【化４－２】



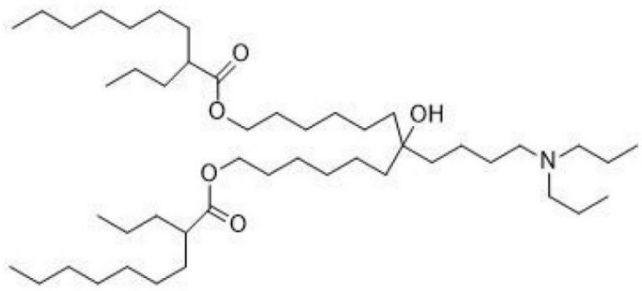
ＣＬ４Ｆ　８－４、



ＣＬ４Ｆ　８－５、

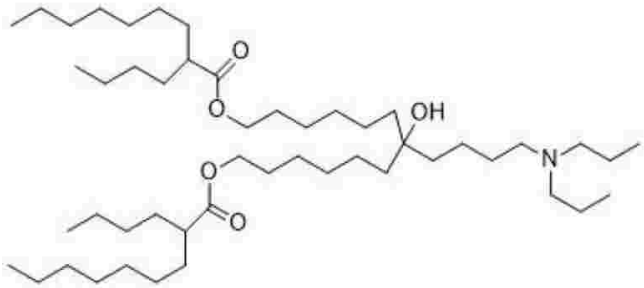


ＣＬ４Ｆ　８－６、

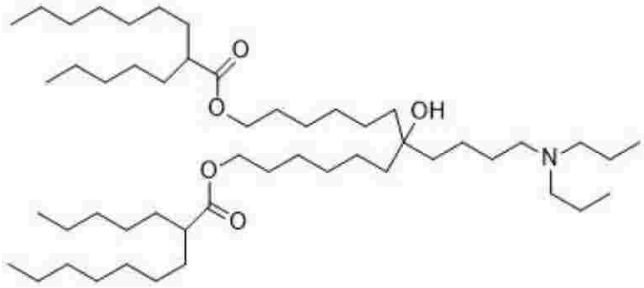


ＣＬ４Ｆ　９－３、

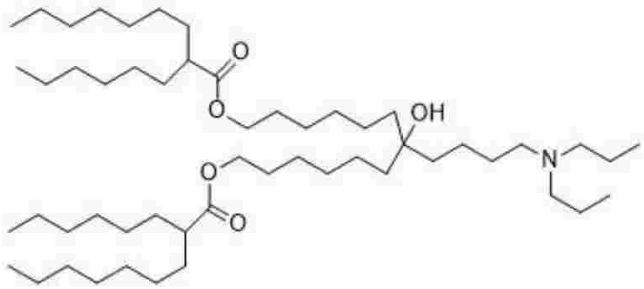
【化４－３】



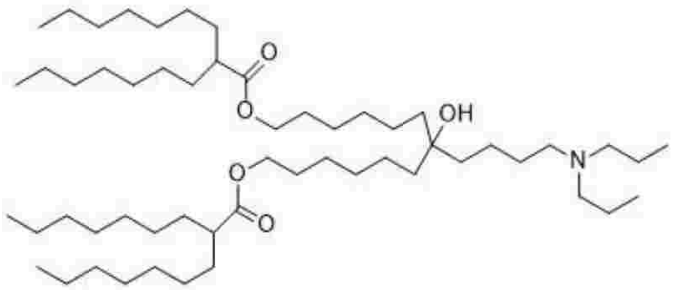
ＣＬ４Ｆ　９－４、



ＣＬ４Ｆ　９－５、

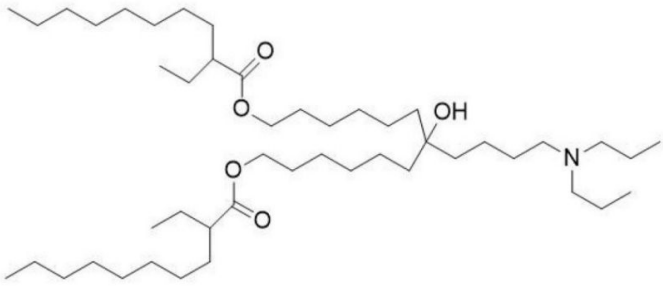


ＣＬ４Ｆ　９－６、

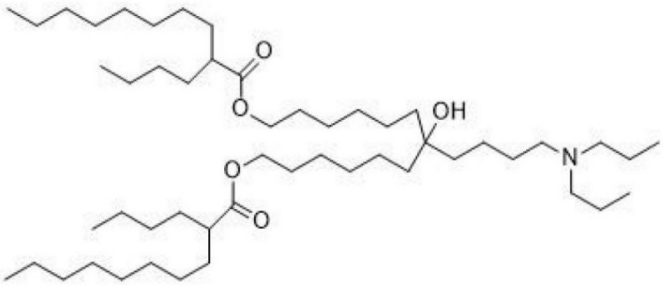


ＣＬ４Ｆ　９－７、

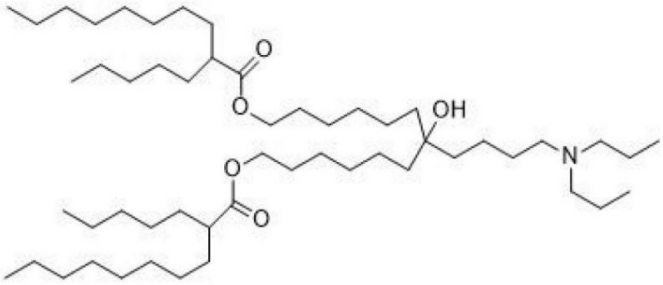
【化４－４】



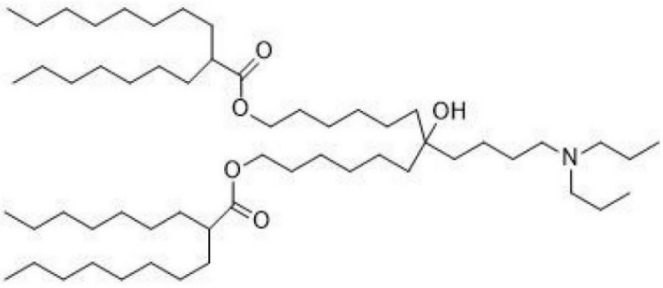
ＣＬ４Ｆ　１０－２、



ＣＬ４Ｆ　１０－４、

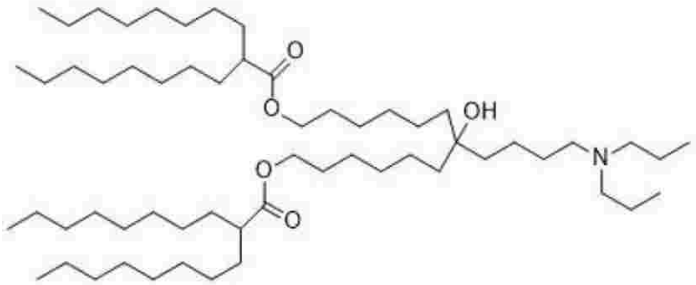


ＣＬ４Ｆ　１０－５、

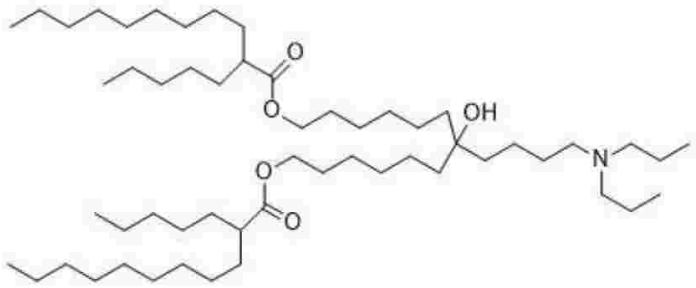


ＣＬ４Ｆ　１０－７、

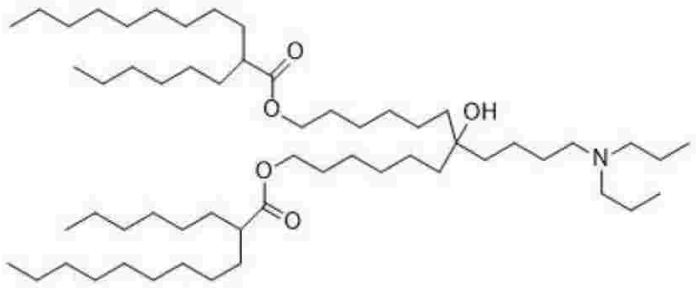
【化４－５】



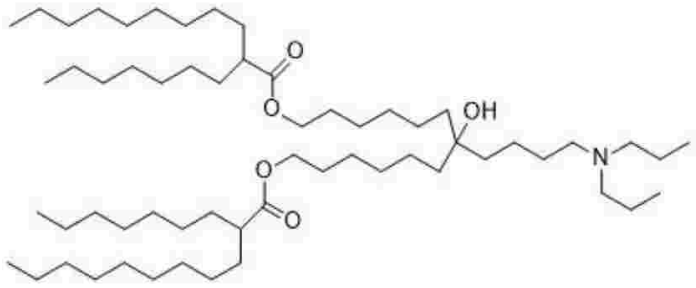
ＣＬ４Ｆ　１０－８、



ＣＬ４Ｆ　１１－５、

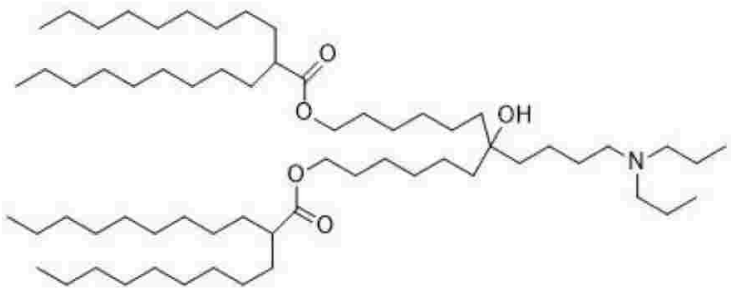


ＣＬ４Ｆ　１１－６、

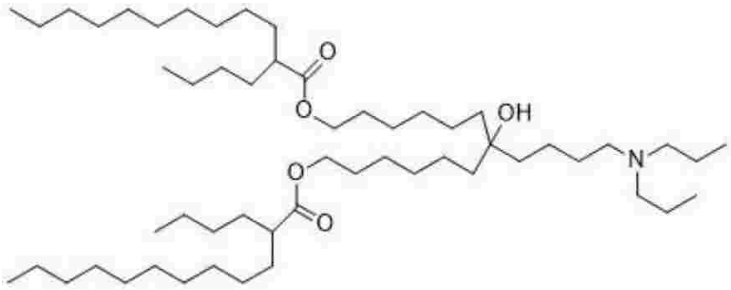


ＣＬ４Ｆ　１１－７、

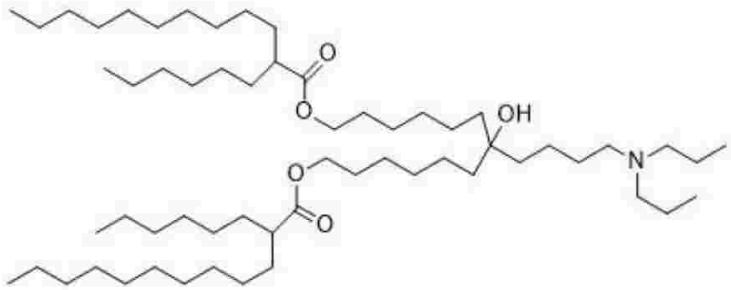
【化４－６】



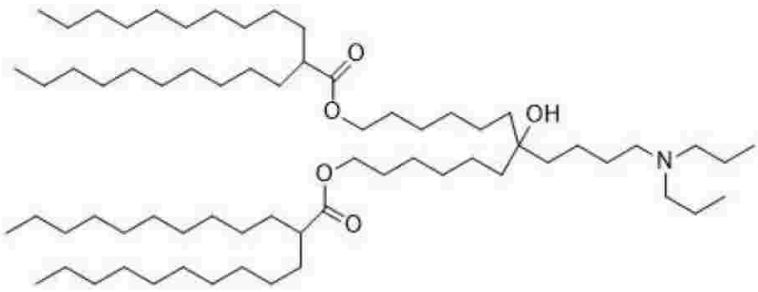
ＣＬ４Ｆ　１１－９、



ＣＬ４Ｆ　１２－４、

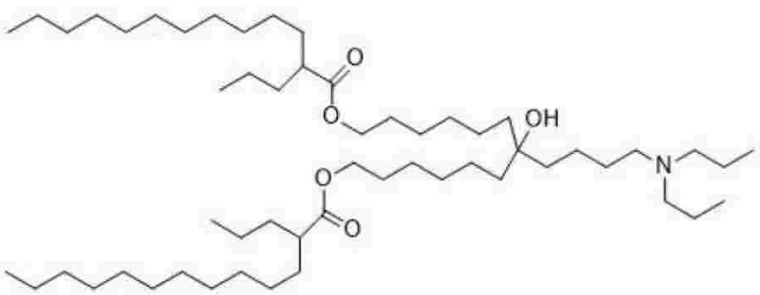


ＣＬ４Ｆ　１２－６、

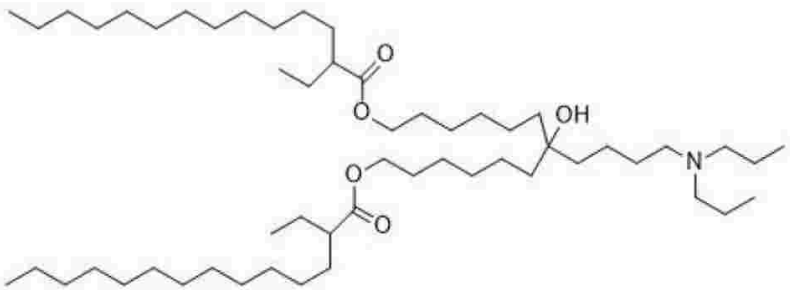


ＣＬ４Ｆ　１２－１０、

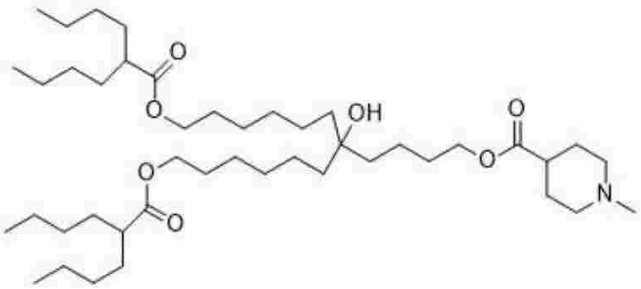
【化４－７】



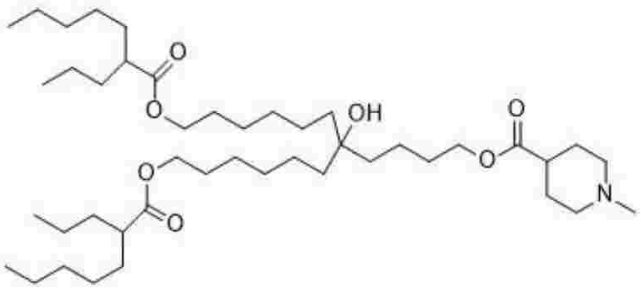
ＣＬ４Ｆ　１３－３、



ＣＬ４Ｆ　１４－２、

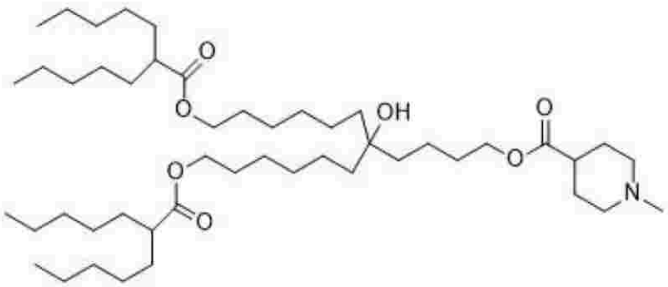


ＣＬ１５Ｆ　６－４、

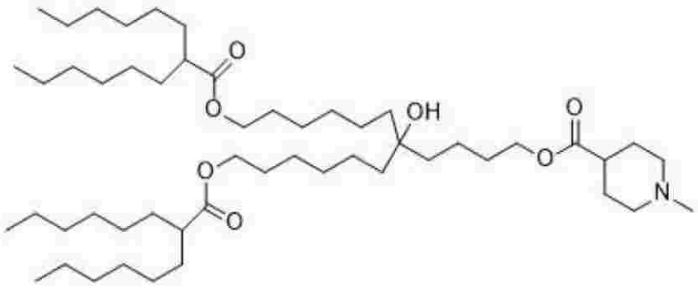


ＣＬ１５Ｆ　７－３、

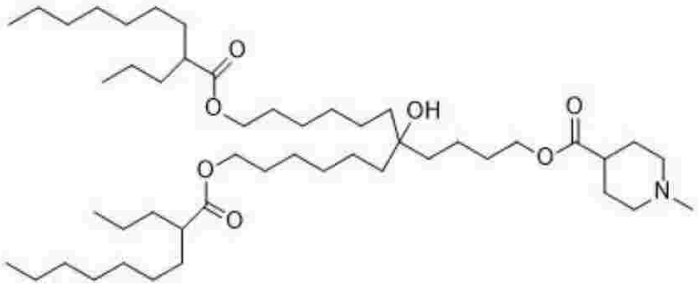
【化４－８】



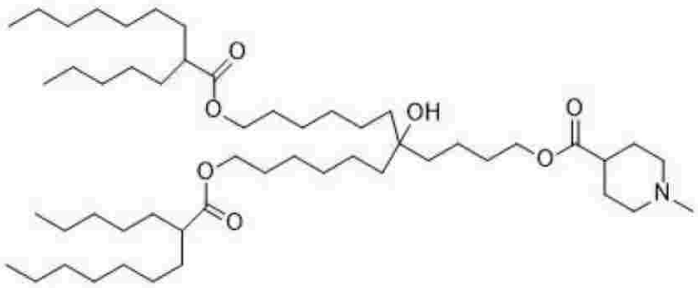
ＣＬ１５Ｆ　７－５、



ＣＬ１５Ｆ　８－６、

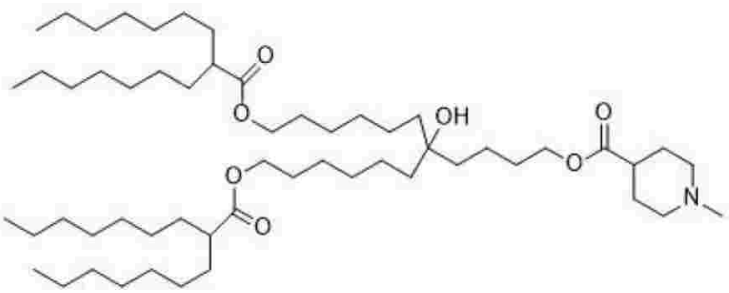


ＣＬ１５Ｆ　９－３、

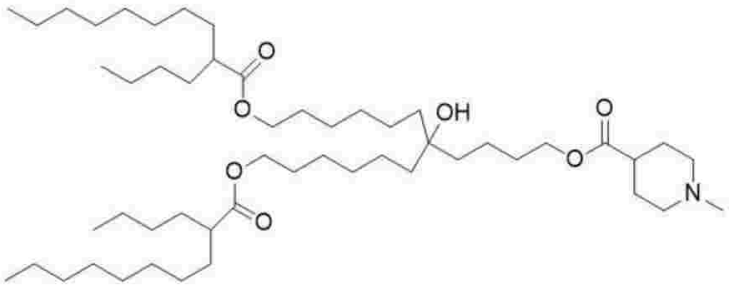


ＣＬ１５Ｆ　９－５、

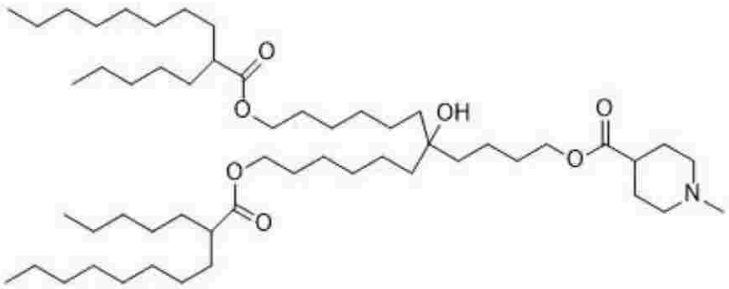
【化４－９】



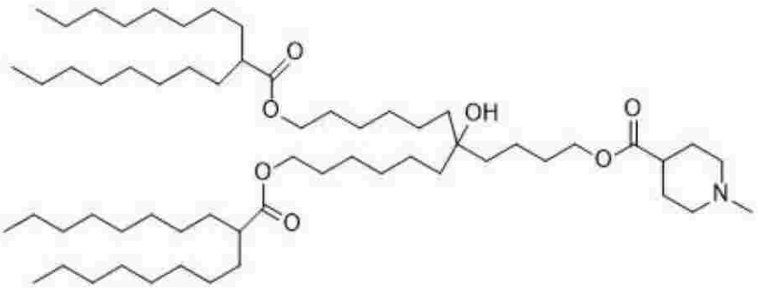
ＣＬ１５Ｆ　９－７、



ＣＬ１５Ｆ　１０－４、

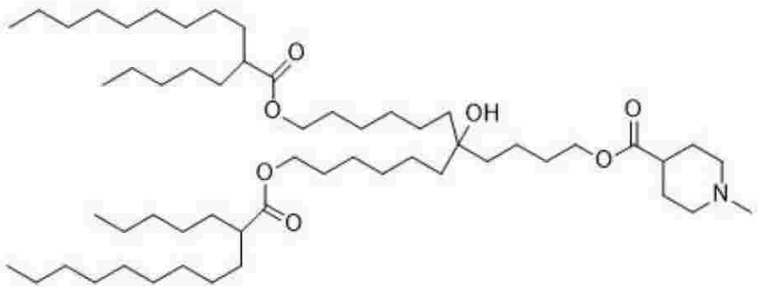


ＣＬ１５Ｆ　１０－５、

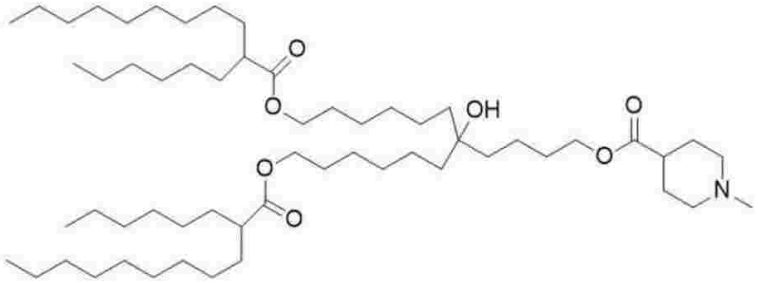


ＣＬ１５Ｆ　１０－８、

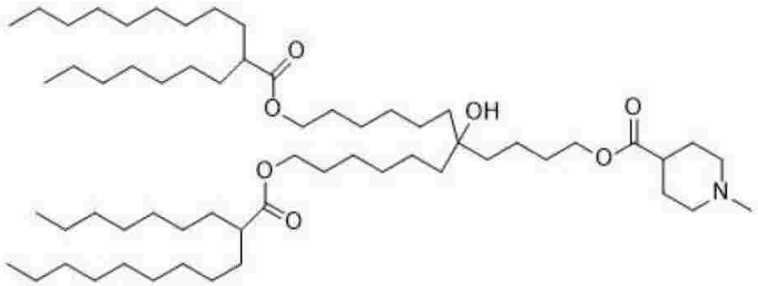
【化４－１０】



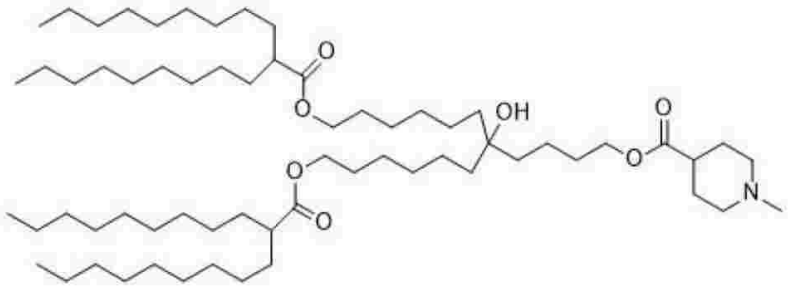
ＣＬ１５Ｆ　１１－５、



ＣＬ１５Ｆ　１１－６、

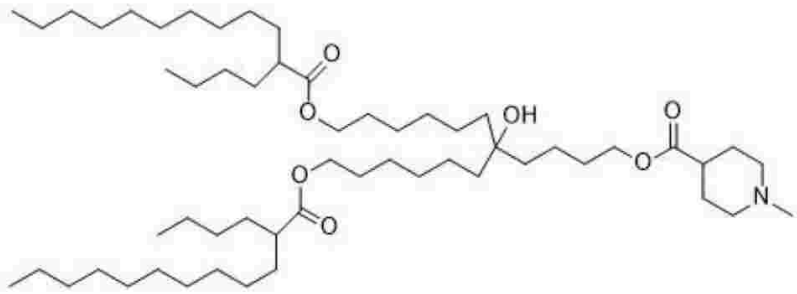


ＣＬ１５Ｆ　１１－７、

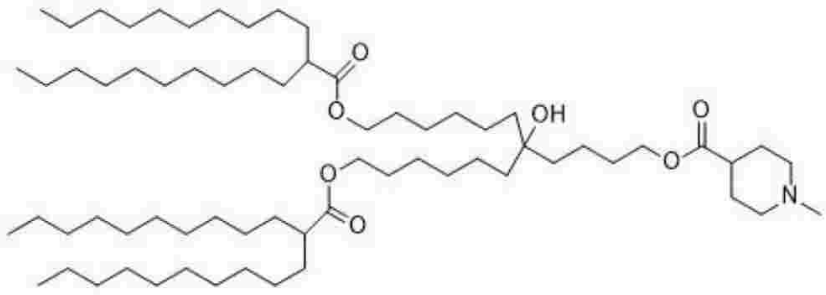


ＣＬ１５Ｆ　１１－９、

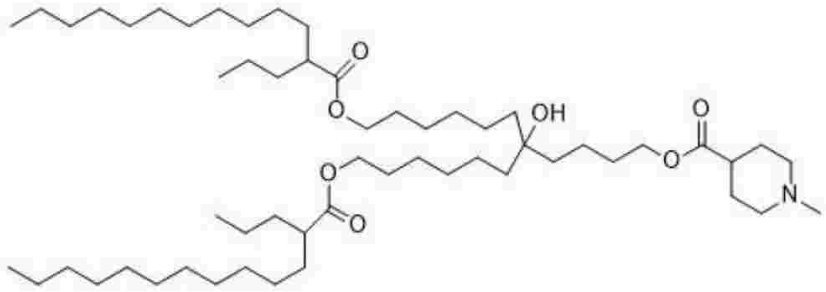
【化４－１１】



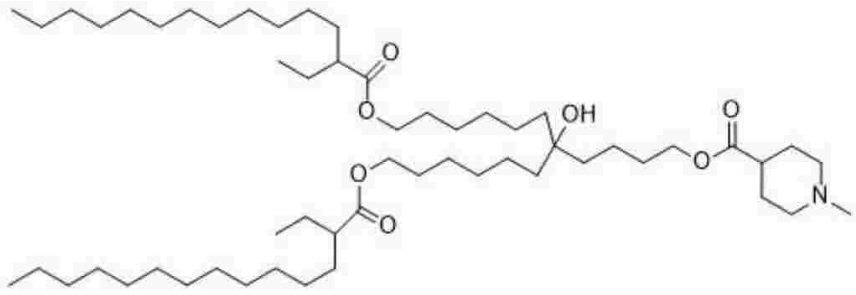
ＣＬ１５Ｆ　１２－４、



ＣＬ１５Ｆ　１２－１０、



ＣＬ１５Ｆ　１３－３、



ＣＬ１５Ｆ　１４－２。

【請求項３】
請求項１または２に記載のｐＨ感受性カチオン性脂質を含む、脂質ナノ粒子。
【請求項４】
さらに、ステロール及びポリアルキレングリコール修飾脂質を含有している、請求項３に記載の脂質ナノ粒子。
【請求項５】
核酸を含有する、請求項３に記載の脂質ナノ粒子。
【請求項６】
前記核酸が、ｓｉＲＮＡである、請求項５に記載の脂質ナノ粒子。

【請求項７】
前記核酸が、ｍＲＮＡ又はプラスミドＤＮＡである、請求項５に記載の脂質ナノ粒子。
【請求項８】
前記核酸が、肝臓細胞内で発現させる遺伝子である、請求項５に記載の脂質ナノ粒子。
【請求項９】
請求項３に記載の脂質ナノ粒子を有効成分とする、医薬用組成物。
【請求項１０】
遺伝子治療に用いられる、請求項９に記載の医薬用組成物。
【請求項１１】
請求項３に記載の脂質ナノ粒子であって、肝臓細胞内で発現させる目的の外来遺伝子を封入した脂質ナノ粒子を、被験動物(但し、ヒトを除く)へ投与し、前記被験動物の肝臓内で前記外来遺伝子を発現させる、外来遺伝子の発現方法。