(12) 按照专利合作条约所公布的国际申请

(19) 世界知识产权组织
国 际 局

(43) 国际公布日
2025 年 10 月 9 日 (09.10.2025)

WIPO | PCT

(10) 国际公布号
WO 2025/209581 A1

(51) 国际专利分类号:
C07C 229/16 (2006.01) *A61P 31/12* (2006.01)
A61K 9/51 (2006.01)

(21) 国际申请号: PCT/CN2025/087234

(22) 国际申请日: 2025 年 4 月 3 日 (03.04.2025)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202410407999.5 2024年4月3日 (03.04.2024) CN
202411391626.X 2024年9月30日 (30.09.2024) CN

(71) 申请人:上海蓝鹊生物医药有限公司(**SHANGHAI RNACURE BIOPHARMA CO., LTD.**) [CN/CN]; 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。

(72) 发明人:林金钟(**LIN, Jinzhong**); 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。卢静(**LU, Jing**); 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。姜婷(**JIANG, Ting**); 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。刘燕(**LIU, Yan**); 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。张凡(**ZHANG, Fan**); 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。章建刚(**ZHANG, Jiangang**); 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。俞航(**YU, Hang**); 中国上海市宝山区长江南路99弄2号103室-287 201906 (CN)。

(74) 代理人: 上海弼兴律师事务所 (**SHANGHAI BESHINING LAW OFFICE**); 中国上海市徐汇区小木桥路681号外经大厦29楼02室薛琦、王卫彬 200032 (CN)。

(81) 指定国(除另有指明，要求每一种可提供的国家保护): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CV, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IQ, IR, IS, IT, JM, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, MG, MK, MN, MU, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UY, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW。

(84) 指定国(除另有指明，要求每一种可提供的地区保护): ARIPO (BW, CV, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SC, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), 欧亚 (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), 欧洲 (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, ME, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG)。

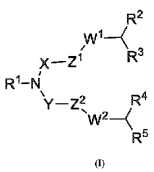
根据细则4.17的声明:
— 发明人资格(细则4.17(iv))

本国际公布:
— 包括国际检索报告(条约第21条(3))。

WO 2025/209581 A1

(54) **Title:** NITROGEN-CONTAINING CHAIN COMPOUND, PREPARATION METHOD, COMPOSITION COMPRISING COMPOUND, AND USE

(54) 发明名称: 含氮链状化合物、制备方法、包含其的组合物和应用



(I)

(57) **Abstract:** Disclosed are a nitrogen-containing chain compound, a preparation method, a composition comprising the compound, and a use. Specifically, disclosed is a compound I or a pharmaceutically acceptable salt thereof. An LNP formulation prepared from the nitrogen-containing chain compound has relatively uniform nanoparticle size, high encapsulation efficiency, and high in-vivo expression activity.

(57) 摘要: 公开了含氮链状化合物、制备方法、包含其的组合物和应用。具体公开了一种化合物I或其药学上可接受的盐。采用含氮链状化合物制备得到的LNP制剂，纳米颗粒大小相对均匀，包封率较高，体内表达活性较高。