

(12) 特許協力条約に基づいて公開された国際出願

(19) 世界知的所有権機関
国際事務局

(43) 国際公開日
2023年5月19日(19.05.2023)



(10) 国際公開番号

WO 2023/085299 A1

(51) 国際特許分類:
C07C 229/12 (2006.01) A61K 31/711 (2006.01)
A61K 9/16 (2006.01) A61K 31/713 (2006.01)
A61K 31/7088 (2006.01) A61K 47/18 (2006.01)
A61K 31/7105 (2006.01) A61K 48/00 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2022/041651

(22) 国際出願日: 2022年11月9日(09.11.2022)

(25) 国際出願の言語: 日本語

(26) 国際公開の言語: 日本語

(30) 優先権データ:
特願 2021-183413 2021年11月10日(10.11.2021) JP

(71) 出願人: 武田薬品工業株式会社 (TAKEDA PHARMACEUTICAL COMPANY LIMITED) [JP/JP]; 〒5410045 大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1号 Osaka (JP).

(72) 発明者: 松本 悟 (MATSUMOTO Satoru); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目2番地の1 武田薬品工業株式会社内 Kanagawa (JP).
大森 良真 (OMORI Yoshimasa); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目2番地の1 武

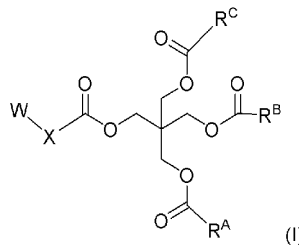
田薬品工業株式会社内 Kanagawa (JP). 帆足保孝 (HOASHI Yasutaka); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目2番地の1 武田薬品工業株式会社内 Kanagawa (JP).

(74) 代理人: 大野 聖二, 外 (OHNO Seiji et al.); 〒1000005 東京都千代田区丸の内一丁目6番5号 丸の内北口ビル21階 大野総合法律事務所 Tokyo (JP).

(81) 指定国(表示のない限り、全ての種類の国内保護が可能): 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, 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, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

(54) Title: CATIONIC LIPID

(54) 発明の名称: カチオン性脂質



(57) Abstract: The present invention provides, inter alia: a technology that enables the introduction, of an active component and particularly a nucleic acid, into a cell at an excellent efficiency and/or into various types of cells; and a cationic lipid that is used in this technology. The cationic lipid according to the present invention is a compound given by formula (I) or a salt thereof. In formula (I), W represents $-NR^1R^2$ or $-N^+R^{11}R^{12}R^{13}(Z^-)$; R^1 and R^2 each independently represent H or a possibly substituted C_{1-5} alkyl group; R^{11} , R^{12} , and R^{13} each independently represent a possibly substituted C_{1-5} alkyl group; Z^- represents an anion; X represents a possibly substituted C_{2-6} alkylene group; R^A and R^B each independently represent a possibly substituted C_{1-17} alkyl group, a possibly substituted C_{3-17} alkenyl group, a possibly substituted C_{15-17} alkadienyl group, or $-R^3-C(O)O-R^4$ or $-R^3-OC(O)-R^4$; R^C represents $-R^3-C(O)O-R^4$ or $-R^3-OC(O)-R^4$; R^3 represents a possibly substituted C_{1-16} alkylene group, a possibly substituted C_{4-16} alkenylene group, or a possibly substituted C_{7-16} alkadienylene group; and R^4 represents H, a possibly substituted C_{1-18} alkyl group, a possibly substituted C_{3-18} alkenyl group, or a possibly substituted C_{15-18} alkadienyl group.

WO 2023/085299 A1

[続葉有]

(84) 指定国(表示のない限り、全ての種類の広域保護が可能): ARIPO (BW, CV, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), ユーラシア (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), ヨーロッパ (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).

添付公開書類:

— 国際調査報告 (条約第21条(3))

(57) 要約: 本発明は、活性成分、特に核酸を、優れた効率で細胞に導入すること、および／または種々の細胞に導入することを可能にする技術や、その技術に用いられるカチオン性脂質等を提供する。本発明のカチオン性脂質は、下記式 (I) で表される化合物又はその塩である。式 (I) 中、Wは、 $-NR^1R^2$ または $-N^+R^{11}R^{12}R^{13}(Z^-)$ を表し、 R^1 および R^2 は、それぞれ独立して、Hまたは置換されていてもよい $C_{1\sim5}$ アルキル基を表し、 R^{11} 、 R^{12} および R^{13} は、それぞれ独立して、置換されていてもよい $C_{1\sim5}$ アルキル基を表し、 Z^- は、陰イオンを表し、Xは、置換されていてもよい $C_{2\sim6}$ アルキレン基を表し、 R^A および R^B は、それぞれ独立して、置換されていてもよい $C_{1\sim17}$ アルキル基、置換されていてもよい $C_{3\sim17}$ アルケニル基、置換されていてもよい $C_{15\sim17}$ アルカジエニル基、あるいは $-R^3-C(O)O-R^4$ または $-R^3-OC(O)-R^4$ を表し、 R^C は、 $-R^3-C(O)O-R^4$ または $-R^3-OC(O)-R^4$ を表し、 R^3 は、置換されていてもよい $C_{1\sim16}$ アルキレン基、置換されていてもよい $C_{4\sim16}$ アルケニレン基または置換されていてもよい $C_{7\sim16}$ アルカジエニレン基を表し、 R^4 は、H、置換されていてもよい $C_{1\sim18}$ アルキル基、置換されていてもよい $C_{3\sim18}$ アルケニル基または置換されていてもよい $C_{15\sim18}$ アルカジエニル基を表す。