

(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
2024年7月4日(04.07.2024)



(10) 国際公開番号

WO 2024/143444 A1

(51) 国際特許分類:

C07D 211/58 (2006.01) A61K 48/00 (2006.01)
A61K 9/51 (2006.01) A61P 25/00 (2006.01)
A61K 9/127 (2006.01) A61P 25/08 (2006.01)
A61K 31/7088 (2006.01) A61P 25/28 (2006.01)
A61K 47/18 (2017.01) A61P 43/00 (2006.01)
A61K 47/34 (2017.01) C12N 15/12 (2006.01)
A61K 47/44 (2017.01) C12N 15/88 (2006.01)

(21) 国際出願番号: PCT/JP2023/046859

(22) 国際出願日: 2023年12月27日(27.12.2023)

(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 2022-211994 2022年12月28日(28.12.2022) JP
特願 2023-041432 2023年3月15日(15.03.2023) JP

(71) 出願人: アステラス製薬株式会社(ASTELLAS PHARMA INC.) [JP/JP]; 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 Tokyo (JP).

(72) 発明者: 文 山 仁 (FUMIYAMA Hitoshi); 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP). 齋藤 智之(SAITO Tomoyuki); 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP). 今西 正史(IMANISHI Masashi); 〒1038411 東京都中央区

日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP). 井上 誠(INOUE Makoto); 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP). 野手 美優(NOTE Miyu); 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP). 森岡 駿介(MORIOKA Shunsuke); 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP). 遠藤 泰輔(ENDO Taisuke); 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP). 加藤 哲▲朗▼(KATO Tetsuro); 〒1038411 東京都中央区日本橋本町二丁目5番1号 アステラス製薬株式会社内 Tokyo (JP).

(74) 代理人: 小林 浩, 外 (KOBAYASHI Hiroshi et al.); 〒1040028 東京都中央区八重洲二丁目8番7号 福岡ビル9階 阿部・井窪・片山法律事務所 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,

(54) Title: 4-AMINOPIPERIDINE COMPOUND, LIPID NANOPARTICLES THEREOF, AND PHARMACEUTICAL COMPOSITION CONTAINING SAME

(54) 発明の名称: 4-アミノピペリジン化合物、その脂質ナノ粒子、及び、それを含む医薬組成物

(57) Abstract: The present invention addresses the problem of providing: a compound that is a 4-aminopiperidine lipid; lipid nanoparticles containing the lipid; and a pharmaceutical composition useful for nucleic acid medicines and the like. The present inventors have discovered a compound that is a 4-aminopiperidine lipid or a salt thereof, examined lipid nanoparticles that have the potential of being formed into various pharmaceutical compositions, and revealed that the lipid that is the compound according to the present invention or a salt thereof can form lipid nanoparticles, and moreover, lipid nanoparticles in which nucleic acid is encapsulated (i.e., nucleic acid lipid nanoparticles). In addition, the nucleic acid lipid nanoparticles containing the lipid according to the present invention are expected to serve as a component of pharmaceutical compositions useful for prevention and/or treatment of astrocyte-related diseases.

(57) 要約: 本発明の課題は、4-アミノピペリジン脂質である化合物、当該脂質を含む脂質ナノ粒子、及び、核酸医薬などに有用な医薬組成物を提供することである。本発明者は、4-アミノピペリジン脂質である化合物又はその塩を見出し、様々な医薬組成物となりうる脂質ナノ粒子について検討し、本発明化合物又はその塩である脂質が脂質ナノ粒子、更には、核酸を内包する脂質ナノ粒子(すなわち、核酸脂質ナノ粒子)を形成させることができることを明らかにした。また、本発明の脂質を含む核酸脂質ナノ粒子は、アストロサイトの関連する疾患の予防及び/又は治療に有用な医薬組成物の成分として期待される。

[続葉有]

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, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

- (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, SC, 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))
- 明細書の別個の部分として表した配列リスト (規則5.2(a))