

(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



(10) 国际公布号
WO 2024/198497 A1

(43) 国际公布日
2024 年 10 月 3 日 (03.10.2024)

(51) 国际专利分类号:

C07C 229/16 (2006.01) *A61K 9/127* (2006.01)
C07C 323/12 (2006.01) *A61K 47/18* (2017.01)
C07C 237/12 (2006.01) *A61K 47/20* (2006.01)
C07C 233/36 (2006.01)

OFFICE, LLC; 中国上海市徐汇区桂平路
435号, Shanghai 200233 (CN)。

(21) 国际申请号: PCT/CN2023/137365

(22) 国际申请日: 2023 年 12 月 8 日 (08.12.2023)

(25) 申请语言: 中文

(26) 公布语言: 中文

(30) 优先权:
202310338416.3 2023年3月31日 (31.03.2023) 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, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW。

(71) 申请人: 深圳虹信生物科技有限公司
(**SHENZHEN MAGICRNA BIOTECHNOLOGY CO.,
LTD.**) [CN/CN]; 中国广东省深圳市光明区
凤凰街道凤凰社区侨凯路459号C5栋
301, Guangdong 518107 (CN)。

(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)。

(72) 发明人: 方菡茵(**FANG, Wanyin**); 中国广东省深圳市
光明区凤凰街道凤凰社区侨凯路459号C5栋301,
Guangdong 518107 (CN)。 秦皓勇(**QIN, Haoyong**);
中国广东省深圳市光明区凤凰街道凤凰社区
侨凯路459号C5栋301, Guangdong 518107 (CN)。
徐岩(**XU, Yan**); 中国广东省深圳市光明区凤凰
街道凤凰社区侨凯路459号C5栋301, Guangdong
518107 (CN)。 吴启新(**WU, Qixin**); 中国广东省
深圳市光明区凤凰街道凤凰社区侨凯路459
号C5栋301, Guangdong 518107 (CN)。

本国际公布:
— 包括国际检索报告(条约第21条(3))。

(74) 代理人: 上海专利商标事务所有限
公司(**SHANGHAI PATENT & TRADEMARK LAW**

(54) **Title:** AMINO LIPID, AND LIPID NANOPARTICLES AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 氨基脂质、脂质纳米颗粒及其应用

(57) **Abstract:** The present invention provides an amino lipid, and lipid nanoparticles (LNPs) and a use thereof, the amino lipid having a structure represented by general formula (I), or an isomer, pharmaceutically acceptable salt, prodrug or solvate of the amino lipid. The present invention further provides LNPs containing the amino lipid. According to the present invention, the amino lipid having a structure represented by general formula (I) is used as an ionizable lipid compound, and the LNPs are obtained by means of self-assembly of the ionizable lipid compound, a steroid, a neutral lipid, and a polymer-bonded lipid. The LNPs can further improve the translation expression level of a nucleic acid load in cells, improve the effect of a nucleic acid-LNP preparation, and enable the nucleic acid-LNP preparation to provide a theoretical basis for personalized treatment.

(57) 摘要: 本发明提供一种氨基脂质、脂质纳米颗粒及其应用, 所述氨基脂质具有通式(I)所示的结构, 或其异构体、药学上可接受的盐、前药或溶剂合物。本发明还提供一种包含所述氨基脂质的脂质纳米颗粒。本发明通过采用具有通式(I)所示结构的氨基脂质作为可离子化脂质化合物, 其与类固醇、中性脂质和聚合物结合的脂质通过自组装得到LNP, 该LNP能进一步提高负载物-核酸在细胞内的翻译表达水平, 提高核酸-LNP制剂的作用, 给予个性化核酸-LNP制剂理论治疗提供了基础。

WO 2024/198497 A1