

(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
2024 年 9 月 12 日 (12.09.2024)



(10) 国际公布号
WO 2024/183821 A1

- (51) 国际专利分类号:
C07C 229/16 (2006.01) *A61K 47/00* (2006.01)
- (21) 国际申请号: PCT/CN2024/080821
- (22) 国际申请日: 2024 年 3 月 8 日 (08.03.2024)
- (25) 申请语言: 中文
- (26) 公布语言: 中文
- (30) 优先权:
202310234563.6 2023年3月9日 (09.03.2023) CN
- (71) 申请人: 上海吉量医药工程有限公司 (MAXIRNA (SHANGHAI) PHARMACEUTICAL CO., LTD.) [CN/CN]; 中国上海市松江区泗泾镇望东中路1号10幢101、201、301室, Shanghai 201601 (CN)。浙江吉量科技有限公司 (MAXIRNA (ZHEJIANG) TECHNOLOGY CO., LTD.) [CN/CN]; 中国浙江省

绍兴市嵊州市长乐镇 A2018-116 号出让地块 (寺前水库 3 号地块) 2 号楼, Zhejiang 312467 (CN)。上海细胞治疗集团股份有限公司 (SHANGHAI CELL THERAPY GROUP CO., LTD) [CN/CN]; 中国上海市嘉定区安亭镇园国路 1585 号 6 幢, Shanghai 201805 (CN)。

- (72) 发明人: 李松 (LI, Song); 中国上海市嘉定区安亭镇园国路 1585 号 6 幢, Shanghai 201805 (CN)。黄昇 (HUANG, Ao); 中国上海市嘉定区安亭镇园国路 1585 号 6 幢, Shanghai 201805 (CN)。纪金山 (JI, Jinshan); 中国上海市嘉定区安亭镇园国路 1585 号 6 幢, Shanghai 201805 (CN)。田志丹 (TIAN, Zhidan); 中国上海市嘉定区安亭镇园国路 1585 号 6 幢, Shanghai 201805 (CN)。郭传鑫 (GUO, Chuanxin); 中国上海市嘉定区安亭镇园国路 1585 号 6 幢, Shanghai 201805 (CN)。孙

(54) Title: IONIZABLE LIPID MOLECULE, PREPARATION METHOD THEREFOR AND USE THEREOF

(54) 发明名称: 可离子化脂质分子及其制备方法和应用

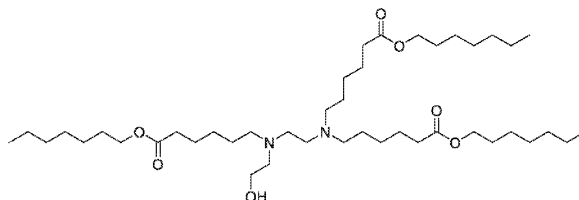
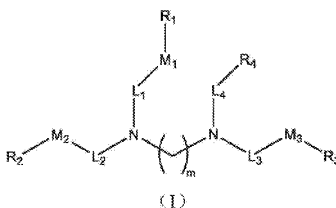


图 1



(57) Abstract: An ionizable lipid molecule, a preparation method therefor and a use thereof. Specifically, provided are a compound represented by formula I, and a stereoisomer, tautomer, pharmaceutically acceptable salt, prodrug or solvate thereof. The definition of each group in the formula is as described in the description. Also provided is a lipid nanoparticle, containing the ionizable lipid compound represented by formula (I). Further provided are a composition and a related use. The compound of formula I can be used to prepare the lipid nanoparticle for delivering a nucleic acid therapeutic agent or an active agent in vivo and in vitro.

[见续页]

WO 2024/183821 A1

艳(SUN, Yan); 中国上海市嘉定区安亭镇园国路 1585 号 6 幢, Shanghai 201805 (CN)。钱其军(QIAN, Qijun); 中国上海市嘉定区安亭镇园国路1585号6幢, Shanghai 201805 (CN)。

(74) 代理人: 上海专利商标事务所有限公司(SHANGHAI PATENT & TRADEMARK LAW OFFICE, LLC); 中国上海市徐汇区桂平路 435 号, Shanghai 200233 (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。

(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)。

本国际公布:
— 包括国际检索报告(条约第21条(3))。

(57) 摘要: 可离子化脂质分子及其制备方法和应用。具体而言, 提供下式I所示的化合物, 其立体异构体、互变异构体、药学上可接受的盐、前药或溶剂合物, 式中各基团的定义如文中所述。还提供脂质纳米颗粒, 其含有式(I)所示的可离子化脂质化合物。还提供了组合物及相关的用途。式I化合物能制备用于在体内和体外递送核酸类治疗剂或活性剂的脂质纳米颗粒。