



守一(DAL, Shouyi); 中国上海市浦东新区李冰路67弄7号, Shanghai 201203 (CN)。刘健(LIU, Jian); 中国上海市浦东新区李冰路67弄7号, Shanghai 201203 (CN)。郭军(GUO, Jun); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区康诚街9号, Tianjin 300462 (CN)。邱东旭(QIU, Dongxu); 中国上海市浦东新区李冰路67弄7号, Shanghai 201203 (CN)。王庆彬(WANG, Qingbin); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区康诚街9号, Tianjin 300462 (CN)。朱涛(ZHU, Tao); 中国上海市浦东新区李冰路67弄7号, Shanghai 201203 (CN)。赵宣(ZHAO, Xuan); 中国天津市滨海新区经济技术开发区西区康诚街9号, Tianjin 300462 (CN)。宇学峰(YU, Xuefeng); 中国上海市浦东新区李冰路67弄7号, Shanghai 201203 (CN)。

- (74) 代理人: 北京领科知识产权代理事务所(特殊普通合伙)(BEIJING LINKTEC IP LAW FIRM (SPECIAL GENERAL PARTNERSHIP)); 中国北京市海淀区大钟寺13号院1号楼12层12B17, Beijing 100098 (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))。

of mRNA, can also be used for aerosol inhalation administration of mRNA, and can cause a high specific antibody response in an experimental animal body, and the compound is safer.

(57) 摘要: 本发明提供一种具有式(I)所示结构的类固醇-阳离子脂质化合物及其用途, 该化合物可用于制备递送治疗剂和/或预防剂的脂质纳米颗粒(Lipid nanoparticle, LNP)。利用本发明的类固醇-阳离子脂质化合物制备的LNP具有较佳的稳定性和转染效率。将该LNP用于递送核酸, 例如mRNA, 可以高效稳定的将生物活性物质递送至靶细胞或器官, 同时, 该类LNP具有较高的稳定性, 可用于mRNA的冻干制剂开发, 也可用于mRNA的雾化吸入给药。在实验动物体内可引起较高的特异性抗体应答, 且化合物具有更好的安全性。