(12) NACH DEM VERTRAG ÜBER DIE INTERNATIONALE ZUSAMMENARBEIT AUF DEM GEBIET DES PATENTWESENS (PCT) VERÖFFENTLICHTE INTERNATIONALE ANMELDUNG

(19) Weltorganisation für geistiges Eigentum
Internationales Büro

(43) Internationales Veröffentlichungsdatum
4. Oktober 2012 (04.10.2012)

WIPO | PCT

(10) Internationale Veröffentlichungsnummer
WO 2012/130941 A2

(51) Internationale Patentklassifikation:
A61K 47/48 (2006.01)

(21) Internationales Aktenzeichen: PCT/EP2012/055639

(22) Internationales Anmeldedatum:
29. März 2012 (29.03.2012)

(25) Einreichungssprache: Deutsch

(26) Veröffentlichungssprache: Deutsch

(30) Angaben zur Priorität:
10 2011 016 334.4 31. März 2011 (31.03.2011) DE
10 2011 101 361.3 9. Mai 2011 (09.05.2011) DE
10 2011 112 191.2
26. August 2011 (26.08.2011) DE
10 2011 117 390.4
20. Oktober 2011 (20.10.2011) DE

(72) Erfinder; und
(71) Anmelder : **SCHÄFER, Konstanze** [DE/DE]; Greifswalder Straße 8, 10405 Berlin (DE).

(74) Anwalt: **MORAWSKI, Birgit**; Patentanwälte, Maikowski & Ninnemann, Postfach 15 09 20, 10671 Berlin (DE).

(81) Bestimmungsstaaten *(soweit nicht anders angegeben, für jede verfügbare nationale Schutzrechtsart)*: AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG, KM, KN, KP, KR, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SM, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, ZA, ZM, ZW.

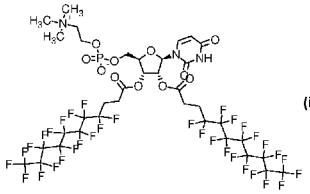
(84) Bestimmungsstaaten *(soweit nicht anders angegeben, für jede verfügbare regionale Schutzrechtsart)*: ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), eurasisches (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM), europäisches (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

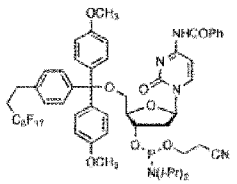
Veröffentlicht:

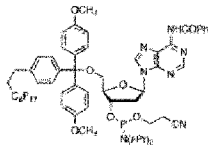
— *ohne internationalen Recherchenbericht und erneut zu veröffentlichen nach Erhalt des Berichts (Regel 48 Absatz 2 Buchstabe g)*

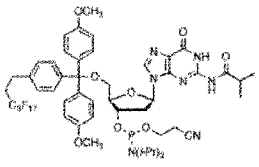
(54) Title: PERFLUORINATED COMPOUNDS FOR THE NON-VIRAL TRANSFER OF NUCLEIC ACIDS

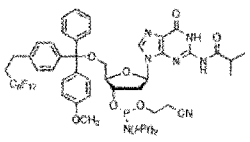
(54) Bezeichnung : PERFLUORIERTE VERBINDUNGEN ZUM NICHT-VIRALEN TRANSFER VON NUKLEINSÄUREN

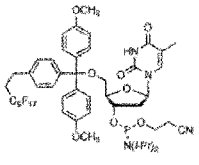

(i)


(ii)


(iii)


(iv)


(v)


(vi)

(57) Abstract: The invention relates to a compound of general formula (I): A - B - C(F, G')- D - E - F - G - A' or a structure of general formula (II): A - B - C(F', G')- D - B - E - F - G - A' (II), wherein - A is at least one molecule selected from the group of the perfluorocarbons (PFCs), perfluorinated silicon compounds, and/or further perfluorinated compounds, - B is at least one predetermined breaking point in the form of a physically, chemically, or enzymatically severable bond, - C is absent or at least one linker molecule, - D is absent or at least one spacer molecule, - E is at least one molecule selected from the group containing nucleobases, nucleosides, nucleotides, oligonucleotides, nucleic acids, modified nucleobases, modified nucleosides, modified nucleotides, modified oligonucleotides, modified nucleic acids, monomers of peptide nucleic acids, oligomers of peptide nucleic acids, and peptide nucleic acids or other nucleic acid analogs, - F, F' is absent or at least one ligand, - G, G' is absent or at least one marker molecule, - A' is absent or has the meaning of A, and wherein the compounds i), ii), iii), iv), v), vi) are excluded. The invention further relates to the use of said compound for the non-viral transfer of molecule E into a cell, to a pharmaceutical composition containing said compound, and to the use of said pharmaceutical composition.

(57) Zusammenfassung:

[Fortsetzung auf der nächsten Seite]

WO 2012/130941 A2