1. Junginys, kuris yra junginys 301:

Diagram

Description automatically generated

arba jo druska ar izomeras.

2. Junginys pagal 1 punktą, kai druska yra farmaciniu požiūriu priimtina druska.

3. Nanodalelių kompozicija, apimanti lipidinį komponentą, kuris apima junginį pagal 1 punktą.

4. Nanodalelių kompozicija pagal 3 punktą, kur lipidų komponentas papildomai apima fosfolipidą.

5. Nanodalelių kompozicija pagal 4 punktą, kur fosfolipidas yra parinktas iš grupės, susidedančios iš:

1,2-dilinoleoil-sn-glicero-3-fosfocholino (DLPC),

1,2-dimiristoil-sn-glicero-fosfocholino (DMPC),

1,2-dioleoil-sn-glicero-3-fosfocholino (DOPC),

1,2-dipalmitoil-sn-glicero-3-fosfocholino (DPPC),

1,2-distearoil-sn-glicero-3-fosfocholino (DSPC),

1,2-diundekanoil-sn-glicero-fosfocholino (DUPC),

1-palmitoil-2-oleoil-sn-glicero-3-fosfocholino (POPC),

1,2-di-O-oktadecenil-*sn*-glicero-3-fosfocholino (18:0 dieterio PC),

1-oleoil-2-cholesterilhemisukcinoil-*sn*-glicero-3-fosfocholino (OChemsPC),

1-heksadecil-sn-glicero-3-fosfocholino (C16 lizo PC),

1,2-dilinoleoil-sn-glicero-3-fosfocholino,

1,2-diarachidonoil-sn-glicero-3-fosfocholino,

1,2-didokosaheksaenoil-sn-glicero-3-fosfocholino,

1,2-dioleoil-sn-glicero-3-fosfoetanolamino (DOPE),

1,2-difitanoil-sn-glicero-3-fosfoetanolamino (ME 16.0 PE),

1,2-distearoil-sn-glicero-3-fosfoetanolamino,

1,2-dilinoleoil-sn-glicero-3-fosfoetanolamino,

1,2-dilinolenoil-sn-glicero-3-fosfoetanolamino,

1,2-diarachidonoil-sn-glicero-3-fosfoetanolamino,

1,2-didokosaheksaenoil-sn-glicero-3-fosfoetanolamino,

1,2-dioleoil-sn-glicero-3-fosfo-rac-(1-glicerol) natrio druskos (DOPG),

sfingomielino ir

jų mišinių,

pasirinktinai, kur fosfolipidas yra DSPC arba DOPE.

6. Nanodalelių kompozicija pagal 4 punktą, kur lipidų komponentas papildomai apima struktūrinį lipidą.

7. Nanodalelių kompozicija pagal 6 punktą, kur struktūrinis lipidas yra parinktas iš grupės, susidedančios iš cholesterolio, fekosterolio, sitosterolio, ergosterolio, kampesterolio, stigmasterolio, brasikasterolio, tomatidino, ursolo rūgšties, alfa-tokoferolio ir jų mišinių;

pasirinktinai, kur struktūrinis lipidas yra cholesterolis.

8. Nanodalelių kompozicija pagal 6 punktą, kur lipidų komponentas papildomai apima PEG lipidą.

9. Nanodalelių kompozicija pagal 8 punktą, kur PEG lipidas yra parinktas iš grupės, susidedančios iš PEG modifikuoto fosfatidiletanolamino, PEG modifikuoto fosfatidino rūgšties, PEG modifikuoto keramido, PEG modifikuoto dialkilamino, PEG modifikuoto diacilglicerolio, PEG modifikuoto dialkilglicerolio ir jų mišinių.

10. Nanodalelių kompozicija pagal 8 punktą, kur lipidų komponentas apima:

(a) maždaug nuo 30 mol % iki maždaug 60 mol % minėto junginio 301, maždaug nuo 0 mol % iki maždaug 30 mol % fosfolipido, maždaug nuo 18,5 mol % iki maždaug 48,5 mol % struktūrinio lipido ir maždaug nuo 0 mol % iki maždaug 10 mol % PEG lipido;

(b) maždaug nuo 35 mol % iki maždaug 55 mol % minėto junginio 301, maždaug nuo 5 mol % iki maždaug 25 mol % fosfolipido, maždaug nuo 30 mol % iki maždaug 40 mol % struktūrinio lipido ir maždaug nuo 0 mol % iki maždaug 10 mol % PEG lipido arba

(c) maždaug 50 mol % minėto junginio 301, maždaug 10 mol % fosfolipido, maždaug 38,5 mol % struktūrinio lipido ir maždaug 1,5 mol % PEG lipido.

11. Nanodalelių kompozicija pagal bet kurį iš 3–10 punktų, taip pat papildomai apimanti terapinę ir (arba) profilaktinę medžiagą.

12. Nanodalelių kompozicija pagal 11 punktą, kur terapinė ir (arba) profilaktinė medžiaga yra:

(a) nukleorūgštis;

(b) ribonukleorūgštis (RNR);

(c) ribonukleorūgštis (RNR), parinkta iš grupės, susidedančios iš mažos interferuojančios RNR (siRNR), asimetrinės interferuojančios RNR (aiRNR), mikroRNR (miRNR), dicer substrato RNR (dsRNR), mažos plaukų segtuko formos RNR (shRNR), informacinės RNR (mRNR) ir jų mišinių;

(d) informacinė RNR (mRNR);

(e) informacinė RNR (mRNR), kuri apima vieną ar daugiau kamieninių kilpų, grandinę baigiantį nukleozidą, poliA seką, poliadenilinimo signalą ir (arba) 5' dangtelio struktūrą.

13. Nanodalelių kompozicija pagal 12 punktą, kur:

(a) terapinės ir (arba) profilaktinės medžiagos inkapsuliavimo efektyvumas yra ne mažiau kaip 80 % arba ne mažiau kaip 90 %;

(b) lipidinio komponento ir mRNR sv/sv santykis yra nuo maždaug 10:1 iki maždaug 60:1 arba yra apie 20:1 arba

(c) N:P santykis yra nuo maždaug 2:1 iki maždaug 30:1 arba yra apie 5,67:1.

14. Farmacinė kompozicija, apimanti nanodalelių kompoziciją pagal bet kurį iš 3–13 punktų ir farmaciniu požiūriu priimtiną nešiklį.

15. Nanodalelių kompozicija pagal bet kurį iš 3–13 punktų, skirta naudoti taikant žinduolio, kuriam to reikia, ligos arba sutrikimo gydymo būdą.