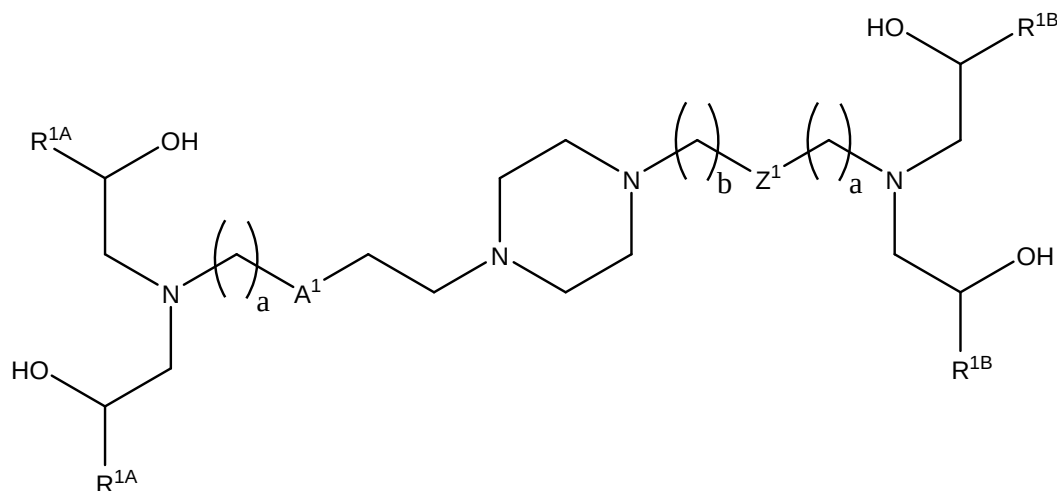
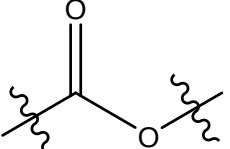
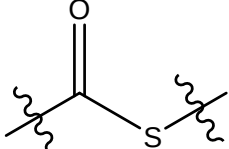


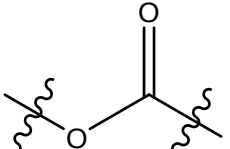
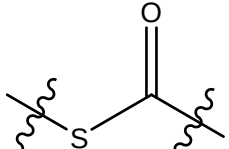
REIVINDICACIONES

1. Un compuesto que tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (I):



o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde:

A^1 se selecciona de ,  y $-S-S-$, en donde el lado izquierdo de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$;

Z^1 se selecciona de ,  y $-S-S-$, en donde el lado derecho de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$;

R^{1A} y R^{1B} se seleccionan, de modo independiente, de alquilo opcionalmente sustituido, alquenilo opcionalmente sustituido, alquino opcionalmente sustituido, acilo opcionalmente sustituido y $-W^1-X^1-Y^1$;

cada W^1 se selecciona, de modo independiente, de alquilo opcionalmente sustituido y alquenilo opcionalmente sustituido

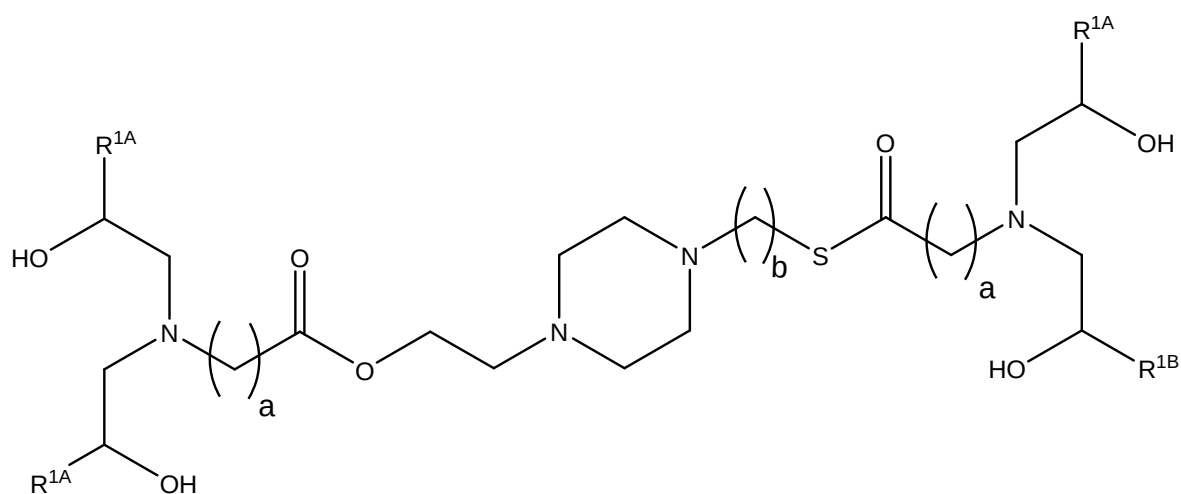
cada X^1 se selecciona, de modo independiente, de $-*O-(C=O)-$ alquilo opcionalmente sustituido, $-(C=O)-O-$ alquilo opcionalmente sustituido, $-*O-(C=O)-$ alquenilo opcionalmente sustituido y $-(C=O)-O-$ alquenilo opcionalmente sustituido, en donde el átomo marcado con un $*$ está conectado a W^1

cada Y^1 se selecciona, de modo independiente, de hidrógeno, $-^*O-(C=O)-$ alquilo opcionalmente sustituido, $-(^*C=O)-O-$ alquilo opcionalmente sustituido, $-^*O-(C=O)-$ alquenilo opcionalmente sustituido, y $-(^*C=O)-O-$ alquenilo opcionalmente sustituido, estando el átomo marcado con un $*$ conectado a X^1 ;

b es 1, 2, 3, 4 o 5; y

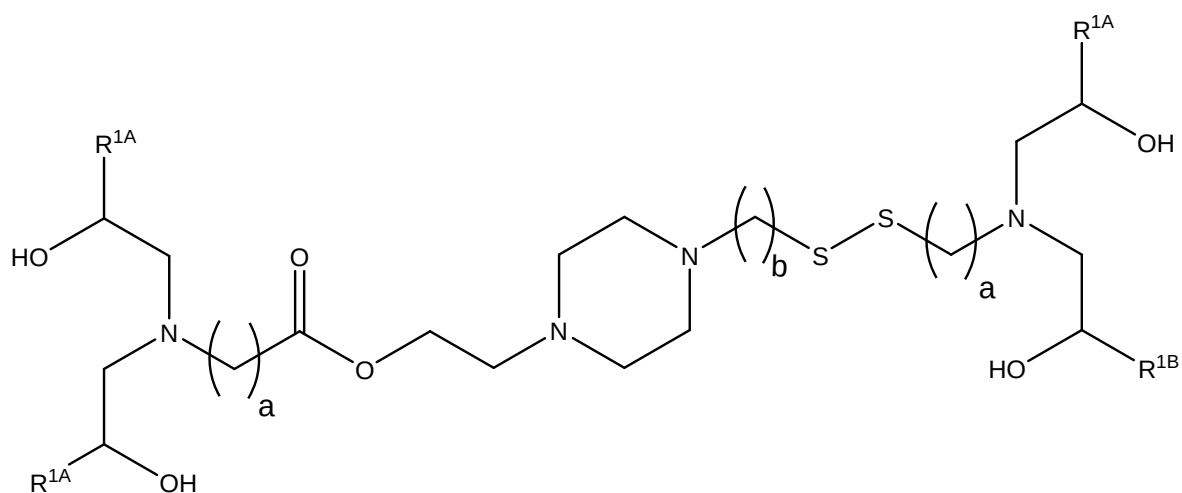
cada a se selecciona, de modo independiente, de 1, 2, 3, 4, 5, 6, 7, 8, 9 y 10.

2. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (li):



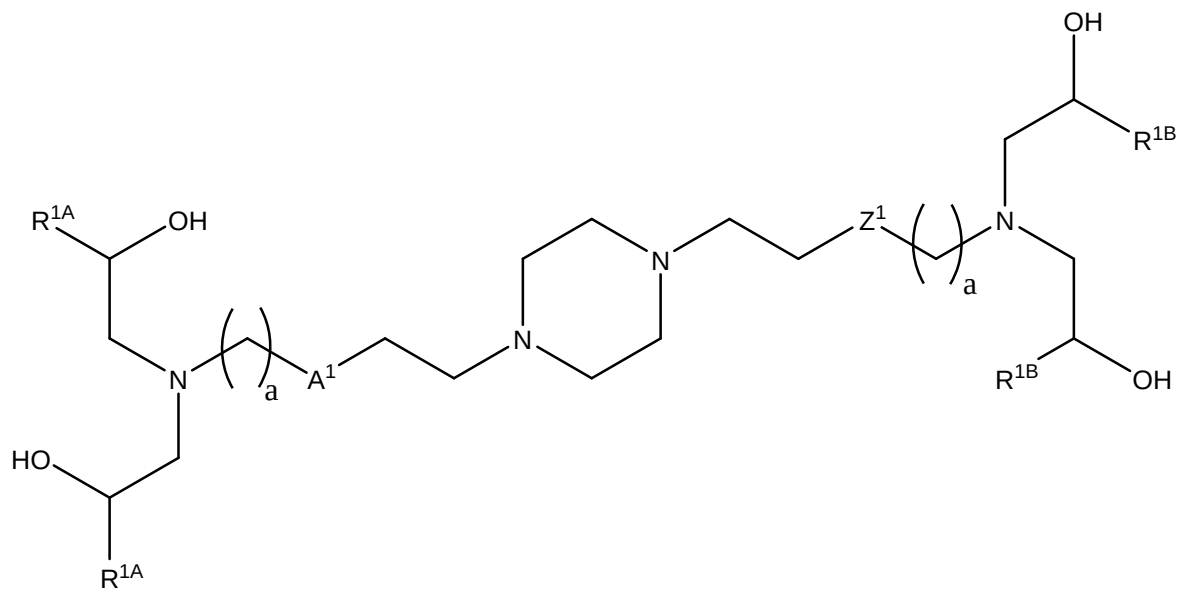
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

3. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (lii):



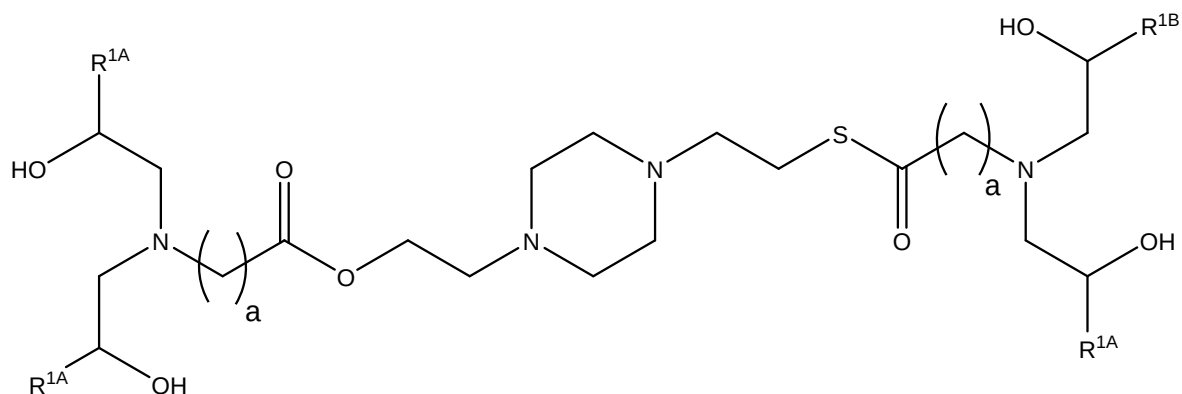
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

4. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (1a):



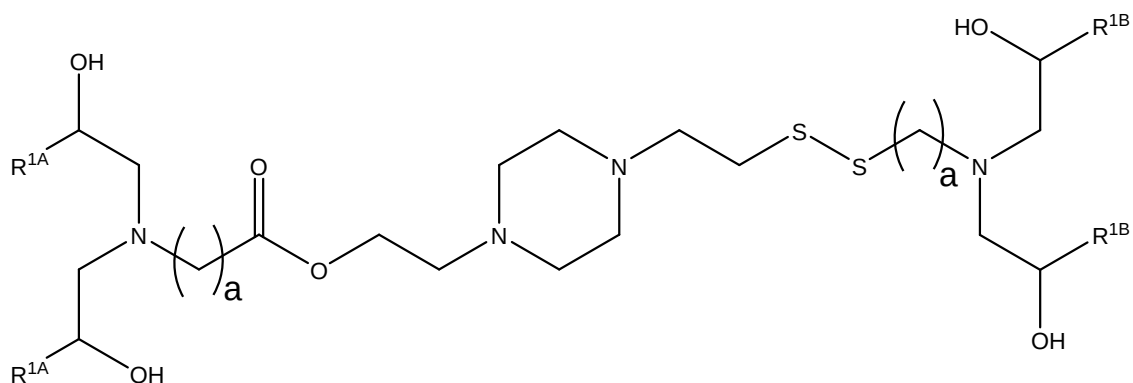
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

5. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, 2 o 4, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (1b):



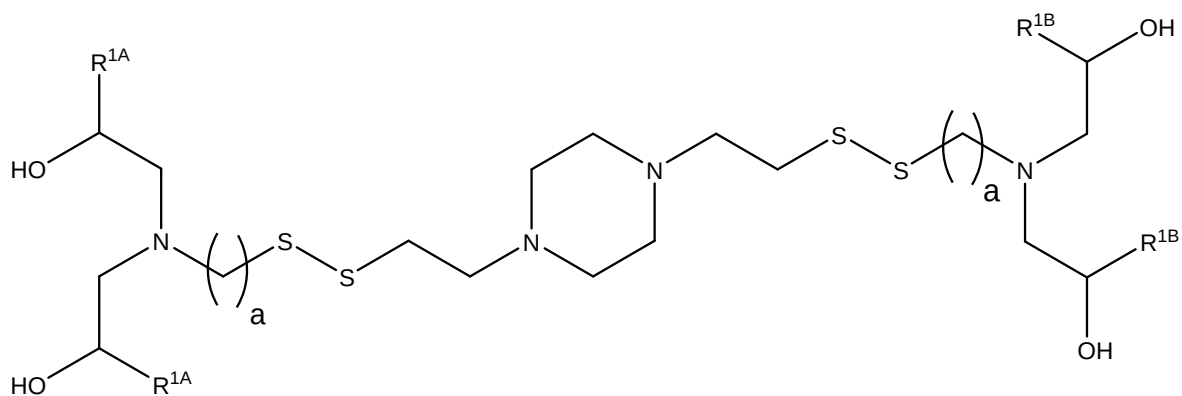
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

6. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, 3 o 4, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (1c):



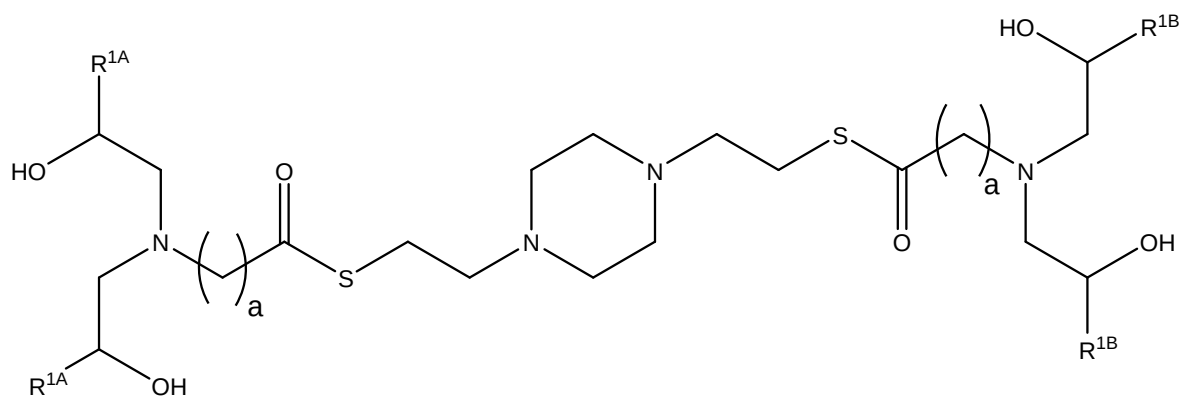
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

7. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1 o de acuerdo con la reivindicación 4, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (1d):



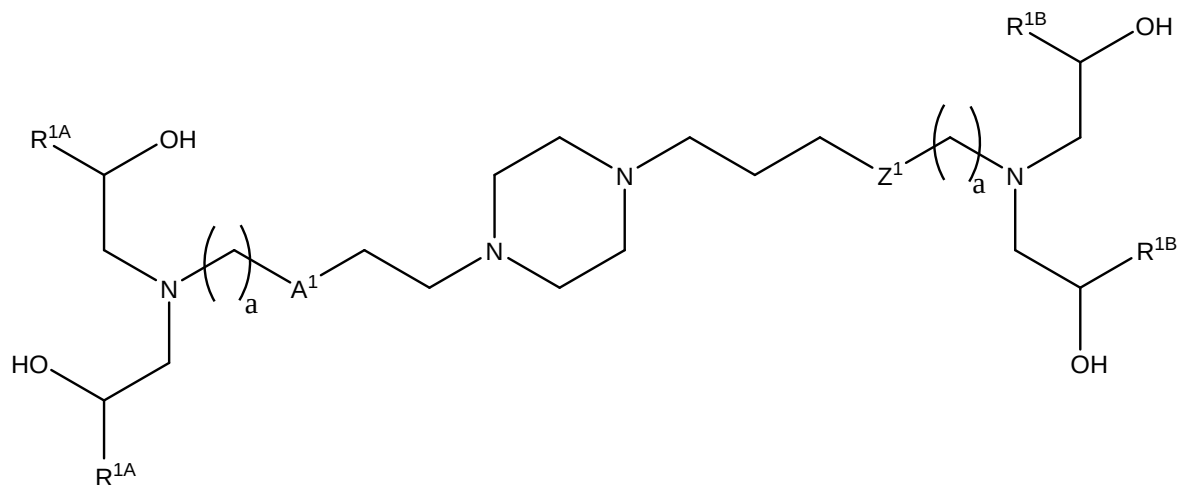
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

8. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1 o de acuerdo con la reivindicación 4, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (Ie):



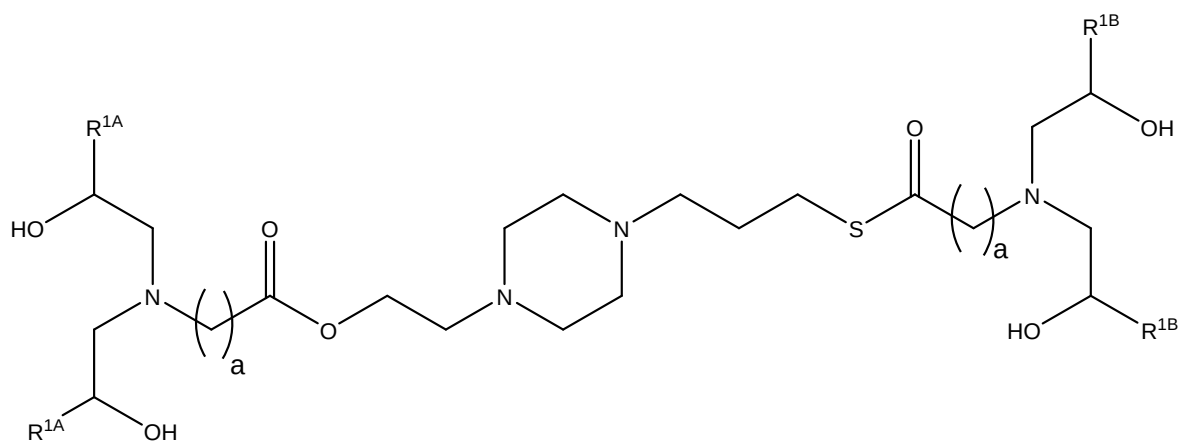
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

9. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (IIa):



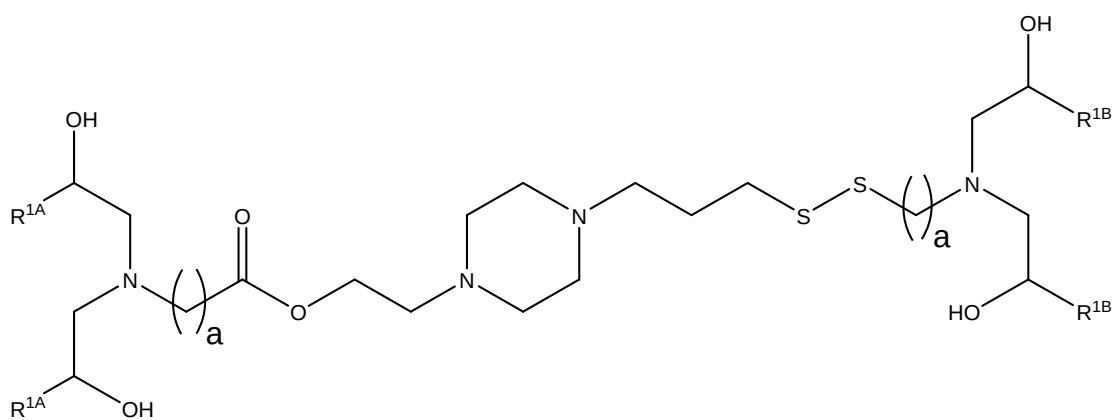
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

10. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1 o de acuerdo con la reivindicación 2, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (IIb):



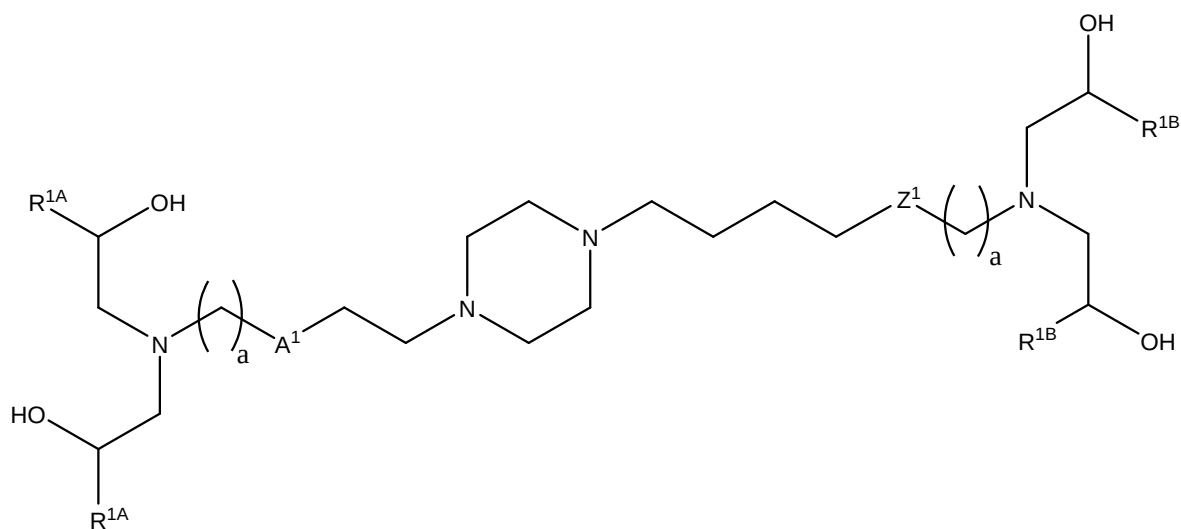
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

11. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1 o de acuerdo con la reivindicación 3, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (IIc):



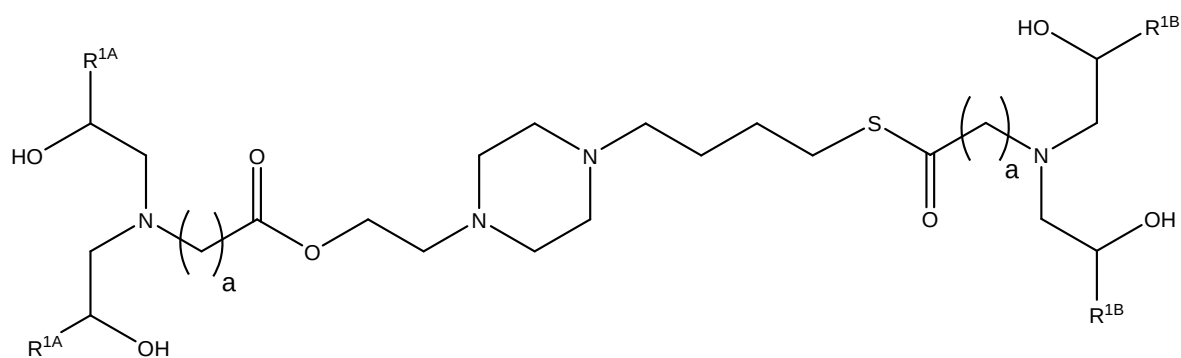
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

12. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (IIIa):



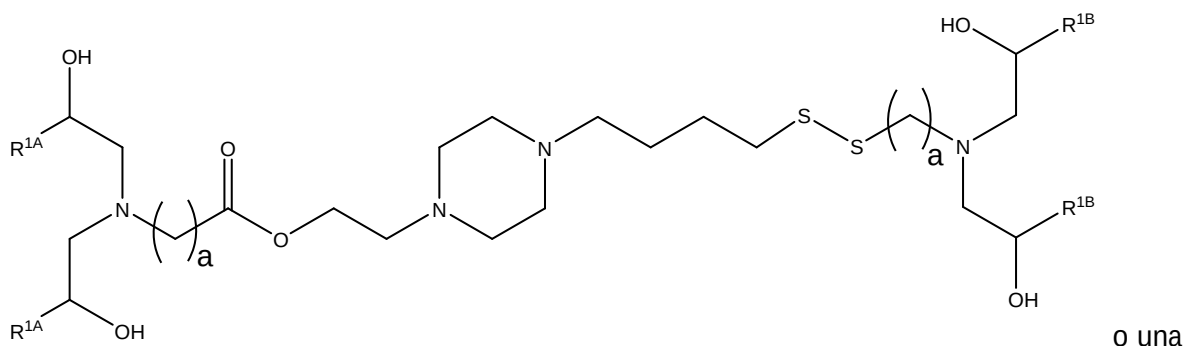
o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

13. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1 o de acuerdo con la reivindicación 2, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (IIIb):



o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

14. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1 o de acuerdo con la reivindicación 3, en donde el compuesto tiene una estructura de acuerdo con la fórmula (IIIc):

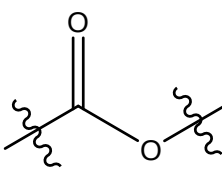


sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

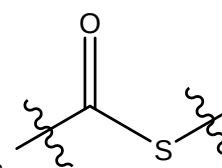
15. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, 4, 9 o 12 o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde A^1 y Z^1 son iguales.

16. El compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, 4, 9 o 12 o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde A^1 y Z^1 son diferentes.

17. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1, 4, 9, 12 y 15–16 o una sal

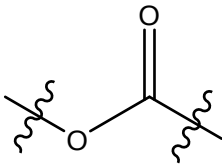
farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde A^1 es , en donde el lado izquierdo de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$.

18. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1, 4, 9, 12 y 15–16 o una

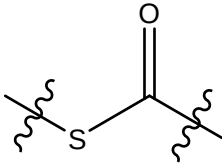
sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde A^1 es , en donde el lado izquierdo de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$.

19. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1, 4, 9, 12 y 15–16 o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde A^1 es $S-S-$, en donde el lado izquierdo de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$.

20. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1, 4, 9, 12 y 15–19 o una sal

farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde Z^1 es , en donde el lado derecho de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$.

21. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1, 4, 9, 12 y 15–19 o una sal

farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde Z^1 es , en donde el lado derecho de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$.

22. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1, 4, 9, 12 y 15–19 o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde Z^1 es $S-S-$, en donde el lado derecho de cada estructura representada está unido al $-(CH_2)_a-$.

23. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones anteriores o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde cada a se selecciona, de modo independiente, de 2, 3 y 4.

24. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones anteriores o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde cada a es la misma.

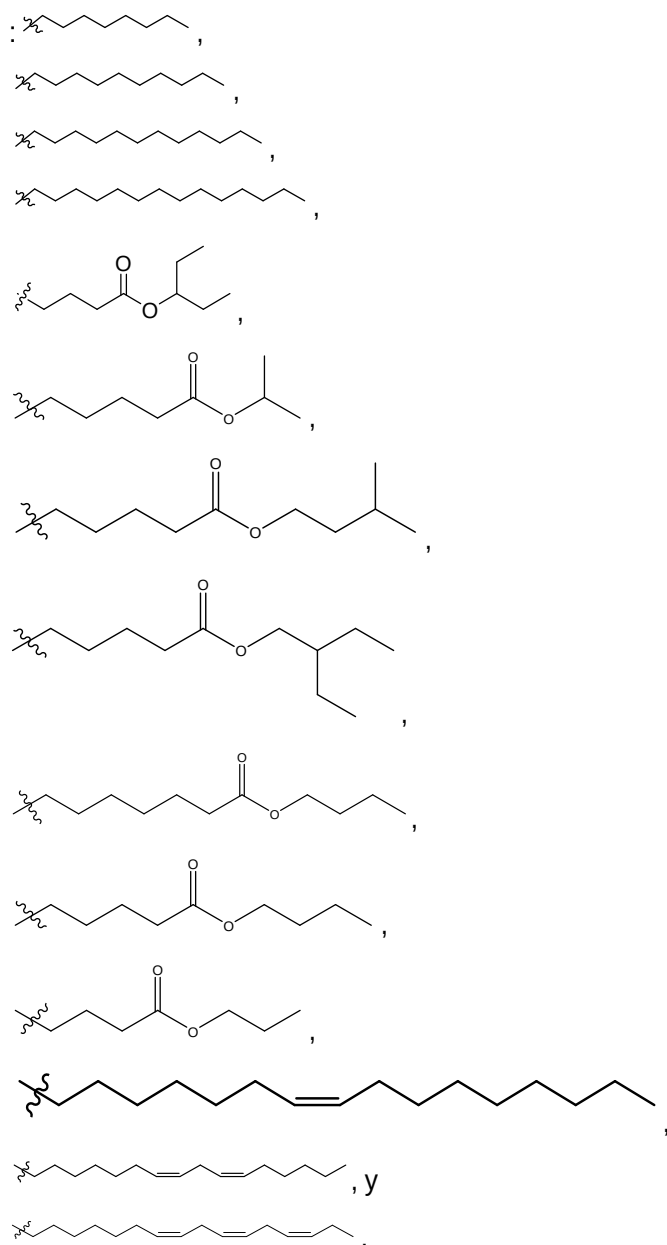
25. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1–23 o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde cada a es diferente.

26. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones anteriores o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde R^{1A} y R^{1B}

(i) se seleccionan cada uno, de modo independiente, de alquilo opcionalmente sustituido, alquienilo opcionalmente sustituido, alquinilo opcionalmente sustituido y acilo opcionalmente sustituido; o

(ii) se seleccionan cada uno, de modo independiente, de alquilo opcionalmente sustituido y alquenilo opcionalmente sustituido.

27. El compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 25 o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, en donde R^{1A} y R^{1B} se seleccionan cada uno, de modo independiente, de:

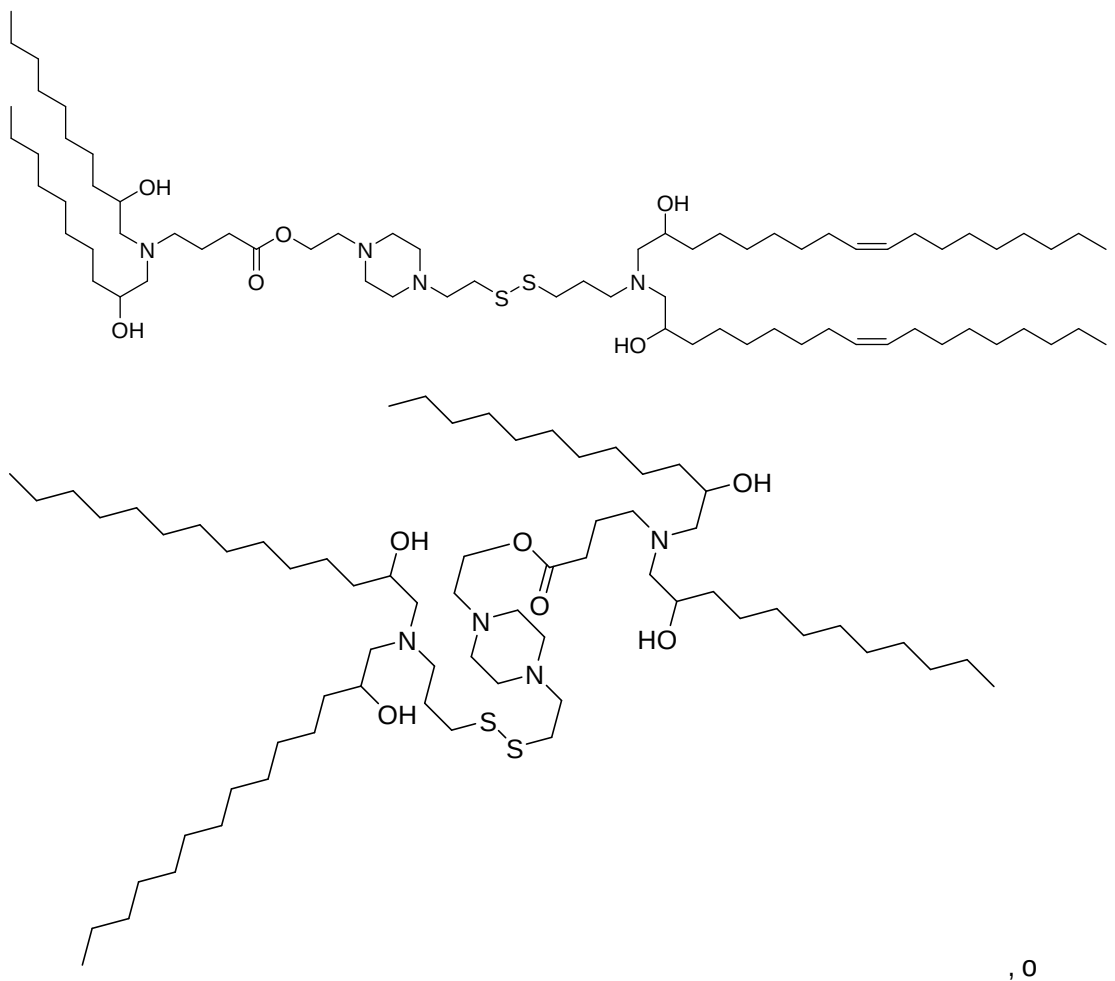


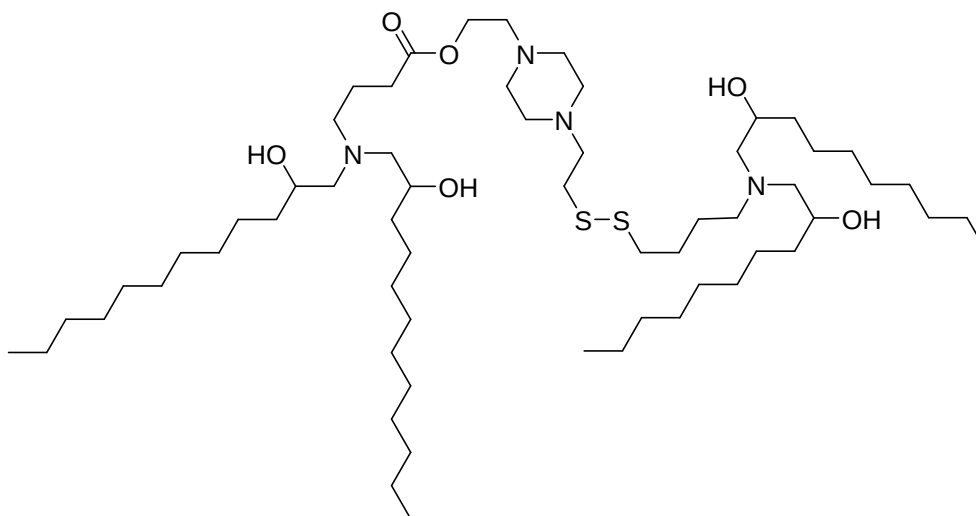
28. Un compuesto seleccionado de los enumerados en:

(i) las tablas A–F o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo; o

(ii) las Tablas A–F o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo, y los compuestos de la fórmula (I), (II), (III), (Ia), (Ib), (Ic), (Id), (Ie), (IIa), (IIb), (IIc), (IIIa), (IIIb), (IIIc) o una sal farmacéuticamente aceptable de los mismos de la invención descritos por los ejemplos 1–13.

29. Un compuesto que tiene la estructura:





o una sal farmacéuticamente aceptable del mismo.

30. Una composición que comprende el lípido catiónico de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones anteriores, uno o más lípidos no catiónicos, uno o más lípidos a base de colesterol y uno o más lípidos modificados con PEG.

31. La composición de acuerdo con la reivindicación 30, en donde la composición es una nanopartícula lipídica, opcionalmente un liposoma.

32. La composición de acuerdo con la reivindicación 30 o de acuerdo con la reivindicación 31, en donde el (los) lípido(s) catiónico(s) constituye(n) aproximadamente el 30% en moles–60% en moles de la nanopartícula lipídica.

33. La composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 30–32, en donde uno o más lípidos no catiónicos constituyen un 10% en moles–50% en moles de la nanopartícula lipídica.

34. La composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 30–33, en donde uno o más lípidos modificados con PEG constituyen 1% en moles–10% en moles de la nanopartícula lipídica.

35. La composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 30–34, en donde el lípido a base de colesterol constituye un 10% en moles–50% en moles de la nanopartícula lipídica.

36. La composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 30–35, en donde la nanopartícula lipídica encapsula un ácido nucleico, opcionalmente un ARNm que codifica un péptido o una proteína.

37. La composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 30–36, en donde la nanopartícula lipídica encapsula un ARNm que codifica un péptido o una proteína, opcionalmente para usar en una vacuna.

38. La composición de acuerdo con la reivindicación 37, en donde las nanopartículas lipídicas tienen un porcentaje de encapsulación para el ARNm de

- (i) al menos el 70%;
- (ii) al menos el 75%;
- (iii) al menos el 80%;
- (iv) al menos el 85%;
- (v) al menos el 90%; o
- (vi) al menos el 95%.

39. La composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 36–38 para su uso en terapia.

40. La composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 36–38 para su uso en un método de tratamiento o prevención de una enfermedad susceptible de ser tratada o prevenida por el péptido o la proteína codificada por el ARNm, opcionalmente en donde el ARNm codifica un antígeno y/o la enfermedad es (a) una deficiencia proteica, opcionalmente en donde la deficiencia proteica afecta al hígado, pulmón, cerebro o músculo, (b) una enfermedad autoinmune, (c) una enfermedad infecciosa, o (d) cáncer.

41. La composición de uso de acuerdo con la reivindicación 39 o 40, en donde la composición se administra por vía intravenosa, intratecal o intramuscular, o por administración pulmonar, opcionalmente mediante nebulización.

42. Un método para tratar o prevenir una enfermedad, en donde dicho método comprende administrar a un sujeto que lo necesita la composición de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 36–38 y en donde la enfermedad es susceptible de ser tratada o prevenida por el péptido o la proteína codificada por el ARNm, opcionalmente en donde el ARNm codifica un antígeno y/o la enfermedad es (a) una deficiencia proteica, opcionalmente en donde la deficiencia proteica afecta al hígado, al pulmón, al cerebro o al músculo, (b) una enfermedad autoinmune, (c) una enfermedad infecciosa, o (d) cáncer.

43. El método de acuerdo con la reivindicación 42, en donde la composición se administra por vía intravenosa, intratecal o intramuscular, o por vía pulmonar, opcionalmente mediante nebulización.