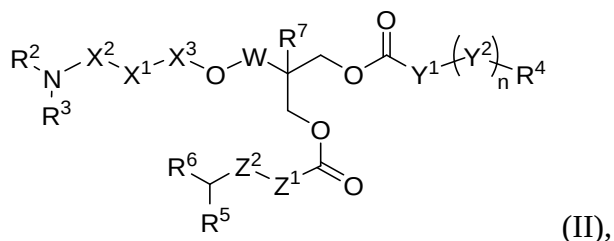


MODIFICACIÓN VOLUNTARIA

1. Un compuesto de la Fórmula II



en el que

X² es alquileo C₂₋₅,

X³ es C(=O) o un enlace directo,

Y¹ es alquileo C₂₋₁₂,

n es 0 a 3,

R⁴ es alquilo C₁₋₁₅,

R⁵ es alquilo C₅₋₉ o alcoxi C₆₋₁₀,

R⁶ es alquilo C₅₋₉ o alcoxi C₆₋₁₀,

W es metileno o un enlace directo,

R⁷ es H o Me, y

(i) X¹ es O, NR¹, o un enlace directo,

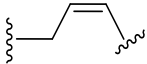
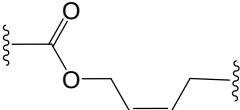
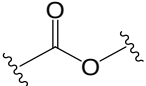
R¹ es H o Me,

R² tomado junto con R³ y el átomo de nitrógeno al cual se adhieren forman un anillo de 5, 6, o 7 miembros, o

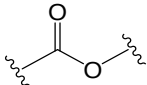
R³ es alquilo C₁₋₃ y R² es alquilo C₁₋₃, o

R² tomado junto con el átomo de nitrógeno al que se adhiere y 1-3 átomos de carbono de X² forman un anillo de 4, 5, o 6 miembros, o

X¹ es NR¹, y R¹ y R² tomado junto con los átomos de nitrógeno a los cuales se adhieren forman un anillo de 5 o 6 miembros, y

Y² se selecciona de  (en cualquier orientación),  (en cualquier orientación), y  (en cualquier orientación),

Z¹ es alquileo C₁₋₆, y

Z² es  (en cualquier orientación), o

(ii) X¹ es O, NR¹, o un enlace directo,

R¹ es H o Me,

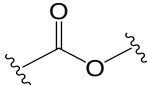
R² tomado junto con R³ y el átomo de nitrógeno al cual se adhieren forman un anillo de 5, 6, o 7 miembros, o

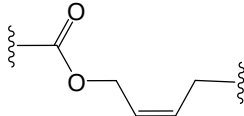
R³ es alquilo C₁₋₃ y R² es alquilo C₁₋₃, o

R² tomado junto con el átomo de nitrógeno al que se adhiere y 1-3 átomos de carbono de X² forman un anillo de 4, 5, o 6 miembros, o

X¹ es NR¹, y R¹ y R² tomado junto con los átomos de nitrógeno a los cuales se adhieren forman un anillo de 5 o 6 miembros, y

Z¹ es alquileo C₁₋₆ o un enlace directo,

Z² es  (en cualquier orientación) o está ausente, con la condición de que si Z¹ es un enlace directo, Z² está ausente, y

Y² es  (en cualquier orientación), o

(iii) X¹ es NR¹,

R¹ es H o Me,

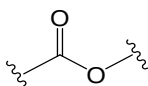
R² tomado junto con R³ y el átomo de nitrógeno al cual se adhieren forman un anillo de 5, 6, o 7 miembros, o

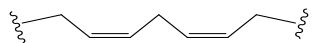
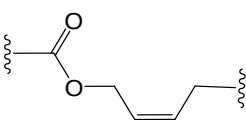
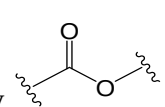
R³ es alquilo C₂₋₃ y R² es alquilo C₂₋₃, o

R^2 tomado junto con el átomo de nitrógeno al que se adhiere y 1-3 átomos de carbono de X^2 forman un anillo de 4, 5, o 6 miembros, o

X^1 es NR^1 , y R^1 y R^2 tomado junto con los átomos de nitrógeno a los cuales se adhieren forman un anillo de 5 o 6 miembros,

Z^1 es alquileo C1-6 o un enlace directo, y

Z^2 es  (en cualquier orientación) o está ausente, con la condición de que si Z^1 es un enlace directo, Z^2 está ausente, y

Y^2 se selecciona de , , y ,
o una sal del mismo.

2. El compuesto de la reivindicación 1, en el que X^2 es alquileo C_2 , alquileo C_3 , o alquileo C_4 lineal.

3. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que R^3 es alquilo C_1 o alquilo C_2 .

4. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que R^2 es alquilo C_1 o alquilo C_2 .

5. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones 1-3, en el que R^2 tomado junto con el átomo de nitrógeno y 1-3 átomos de carbono de X^2 forman un anillo de 5 a 6 miembros, o en el que R^2 y R^3 tomado junto con el átomo de nitrógeno forman un anillo de 5 miembros.

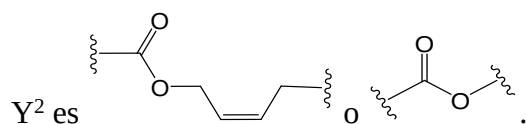
6. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que Y^1 es alquileo C_{5-7} lineal.

7. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que R^4 es alquilo C_{6-12} lineal.

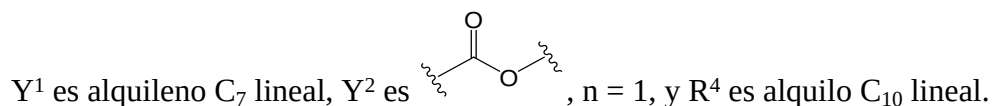
8. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que Z^1 es alquileno C_{2-4} lineal.

9. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que R^5 y R^6 son cada uno independientemente alcoxi C_{7-9} lineal.

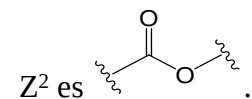
10. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que



11. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que



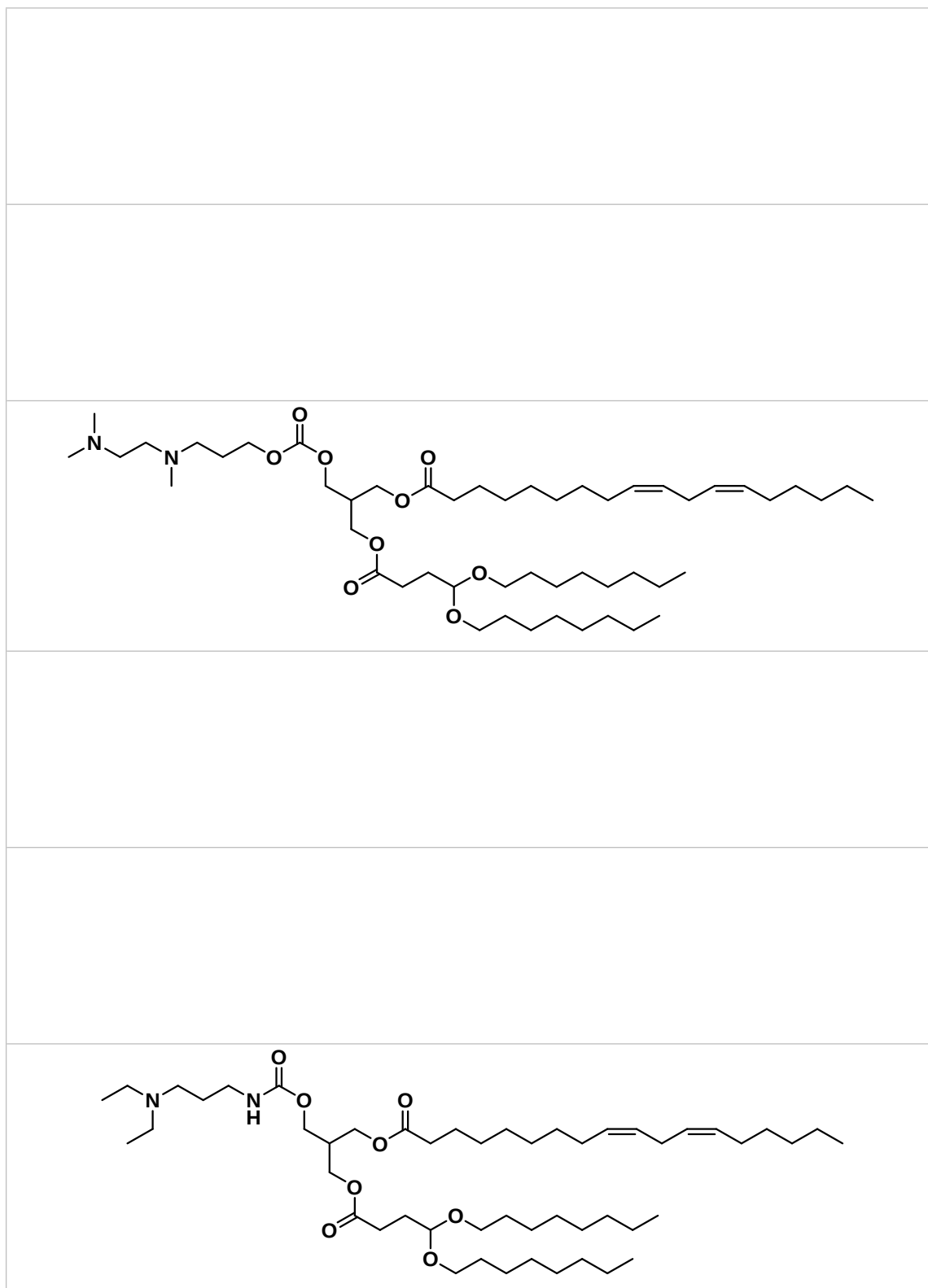
12. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que

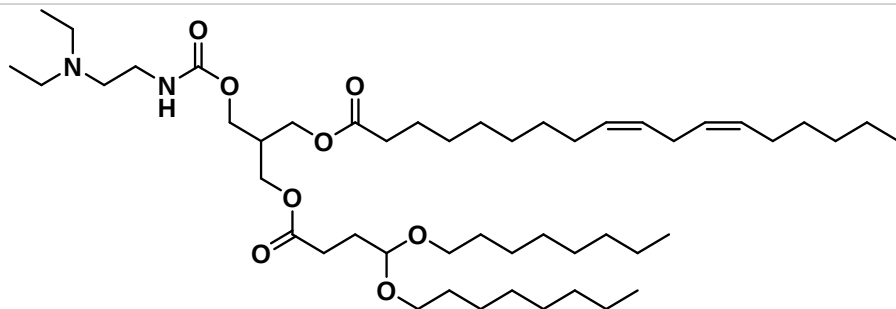
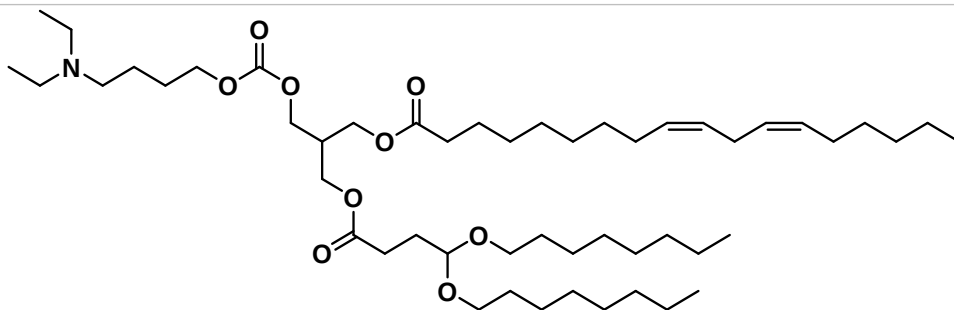
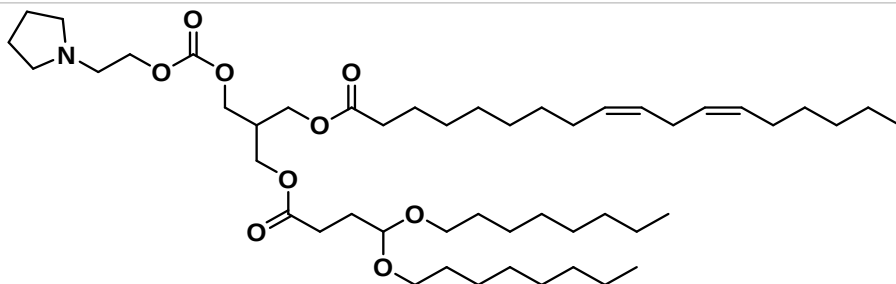
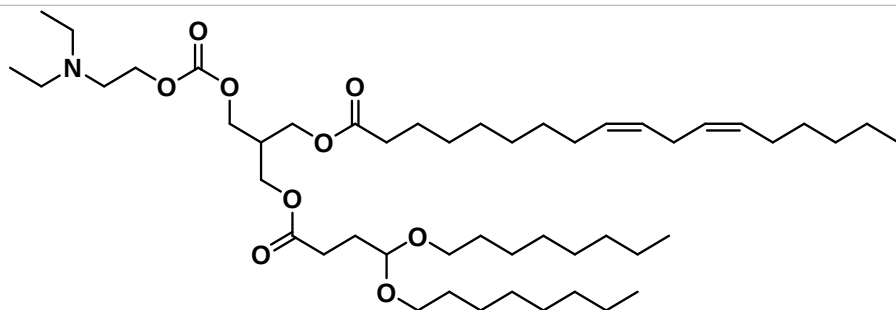
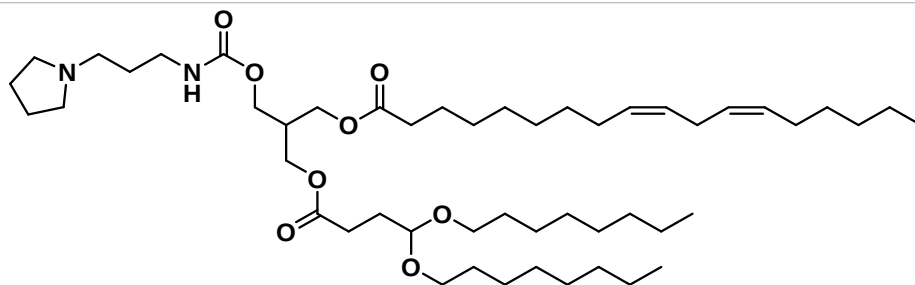


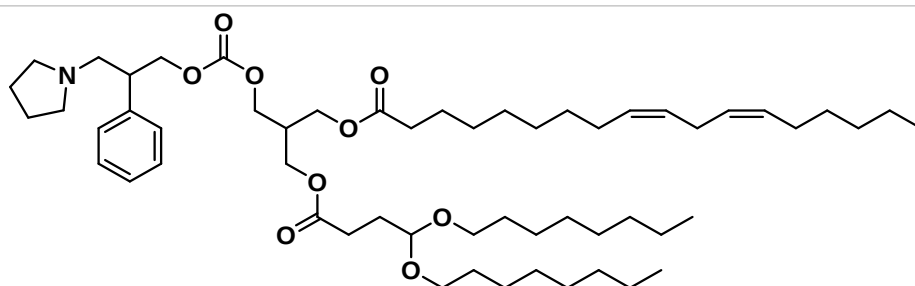
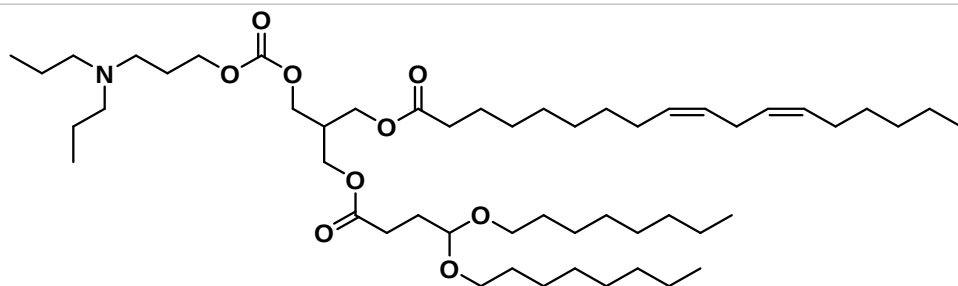
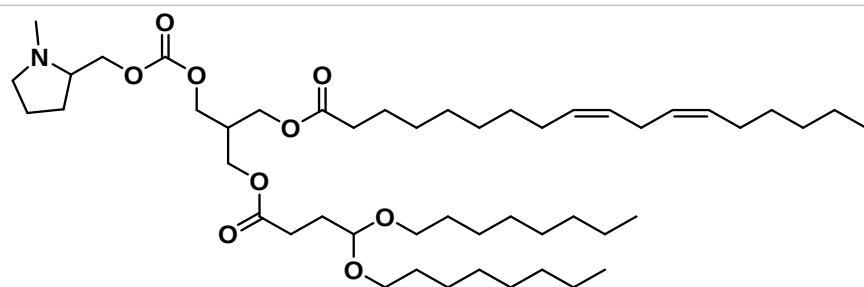
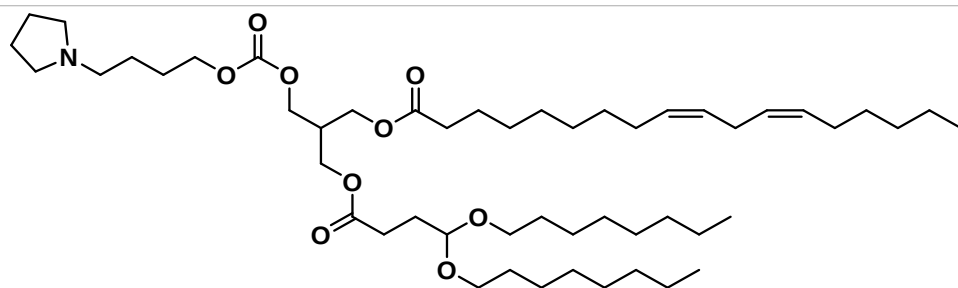
13. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que Z^1 , Z^2 , y R^5 se seleccionan para formar una cadena lineal de 6-18 átomos, que incluyen los átomos de carbono y oxígeno del éster y el acetal.

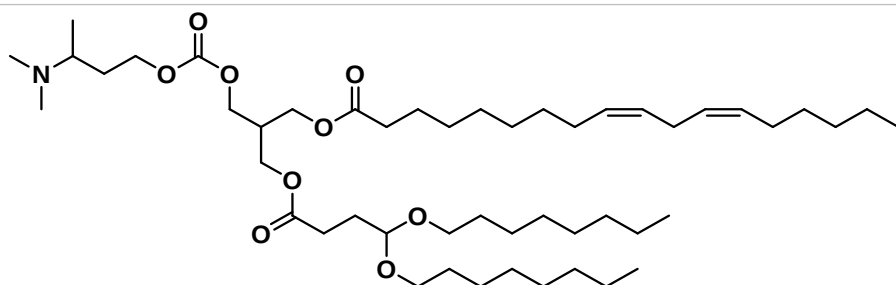
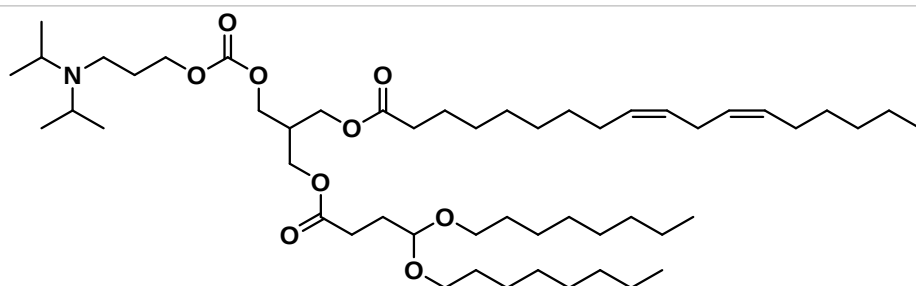
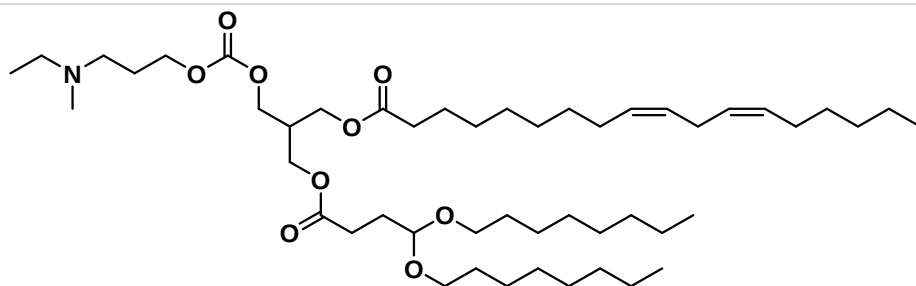
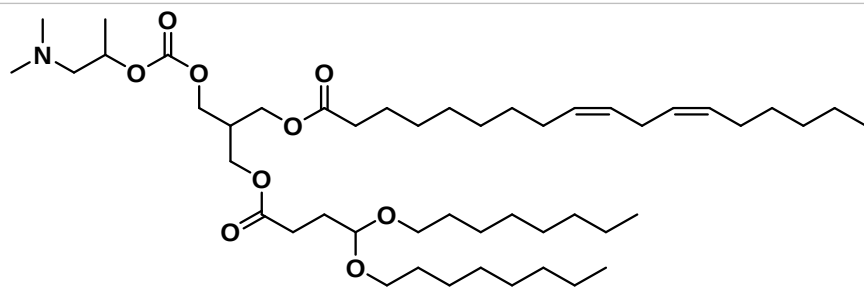
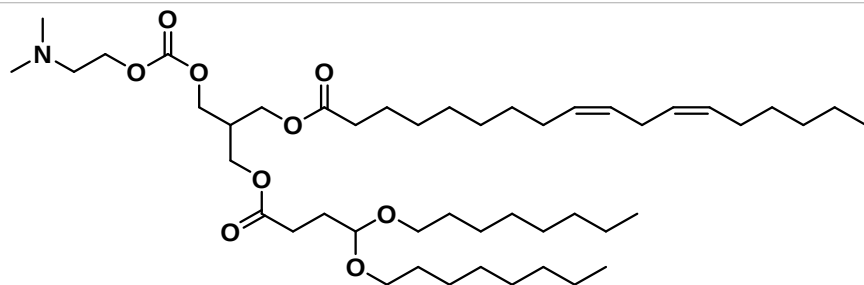
14. El compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones precedentes, en el que Y^1 , Y^2 , y R^4 se seleccionan para formar una cadena lineal de 14-24 átomos, que incluyen los átomos de carbono y oxígeno del(los) éster(es), si están presentes.

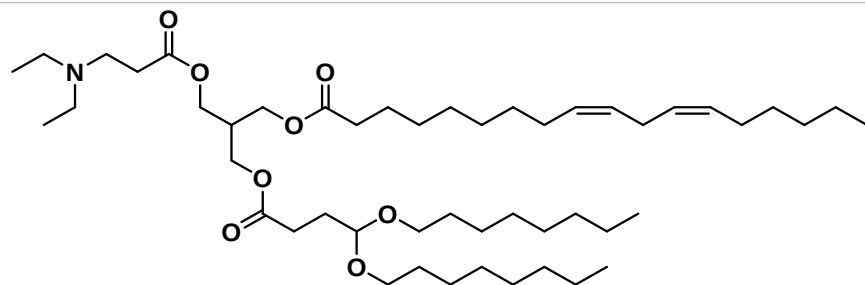
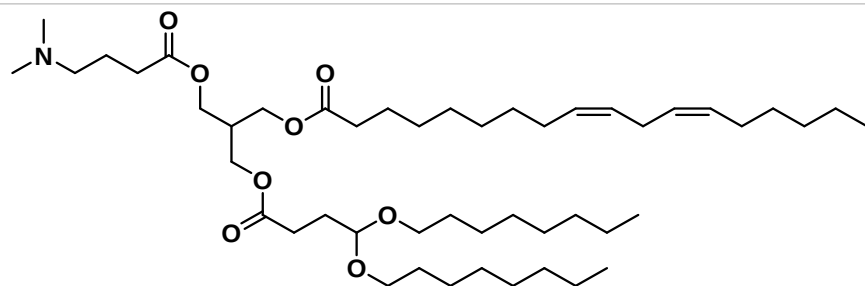
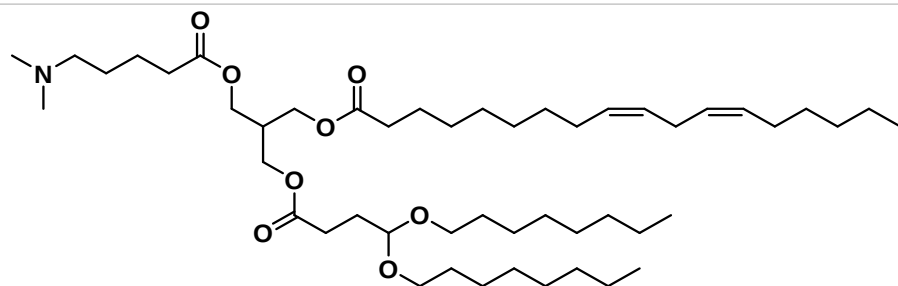
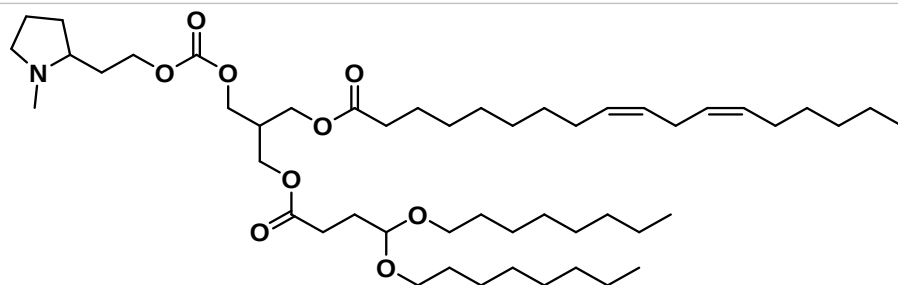
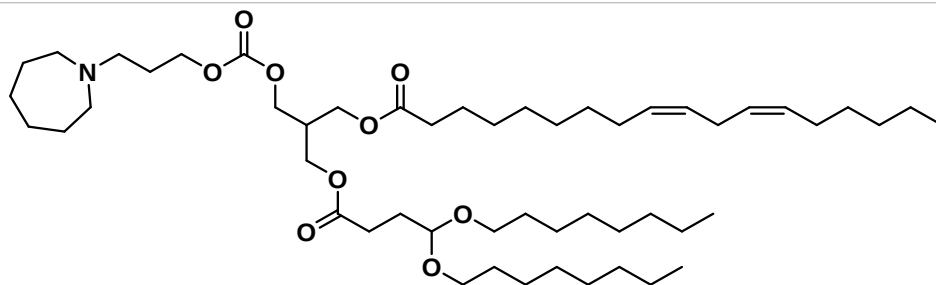
15. Un compuesto seleccionado de:

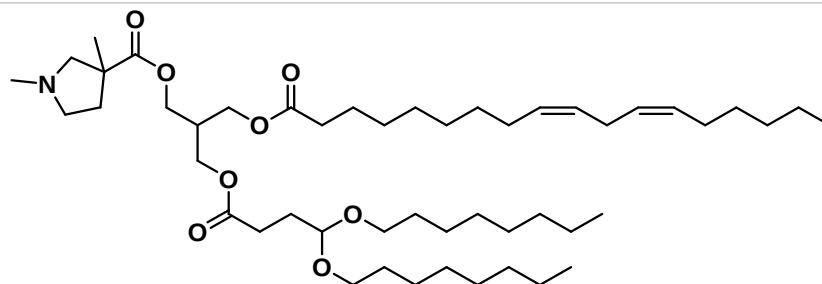
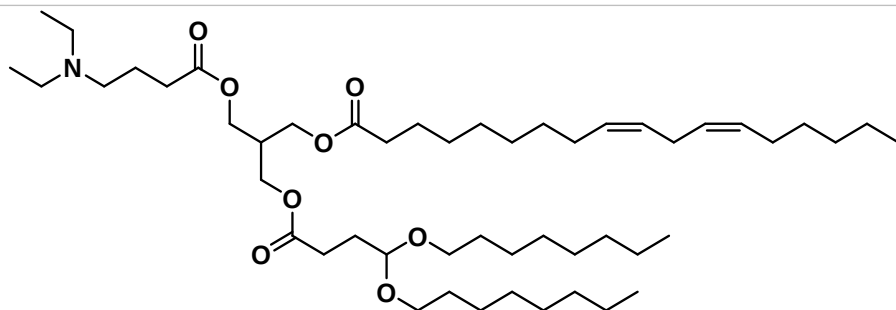
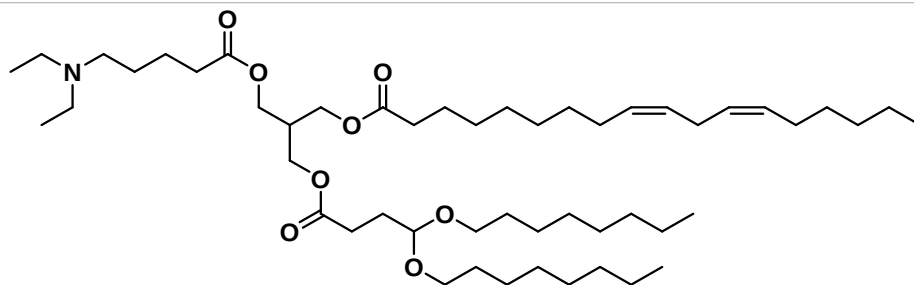


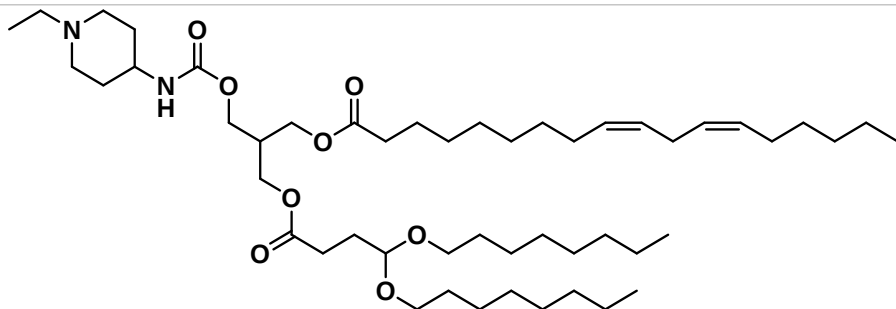
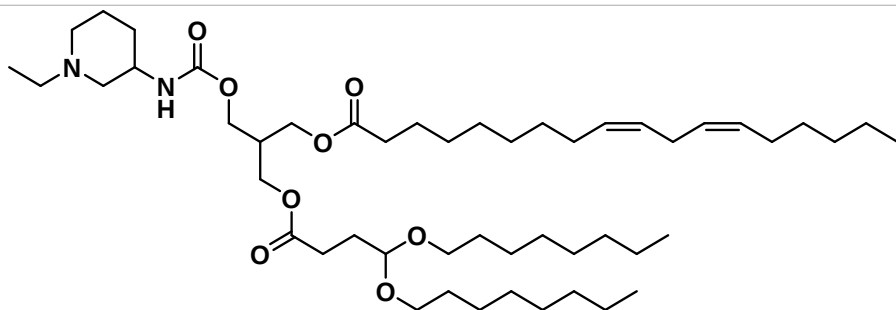
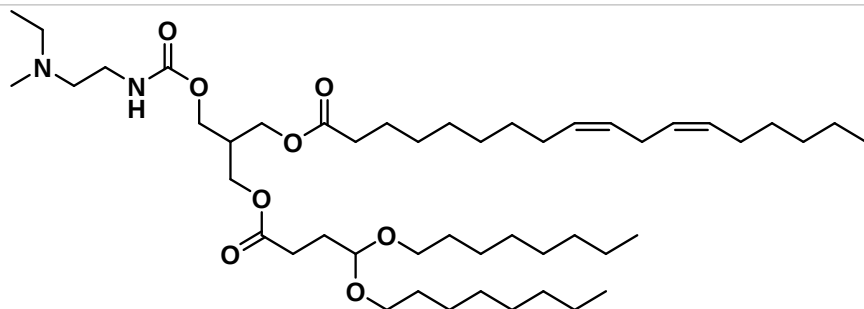
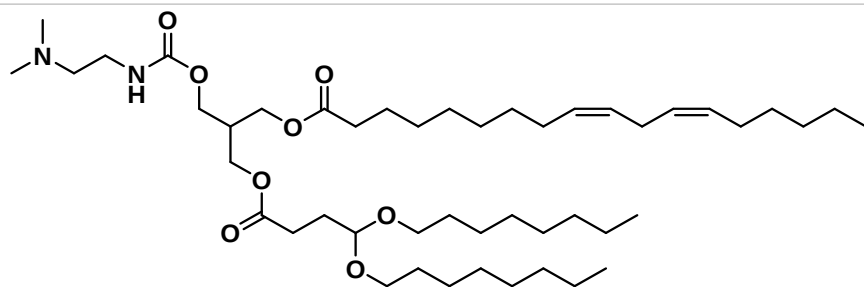
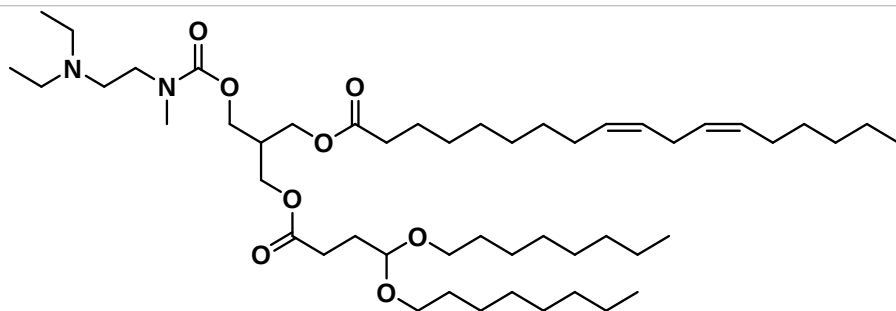


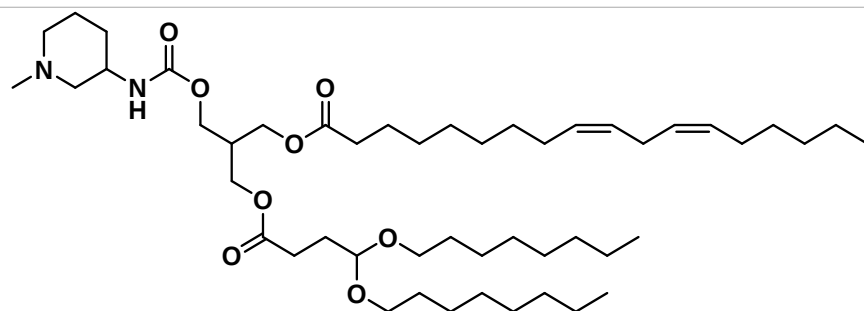
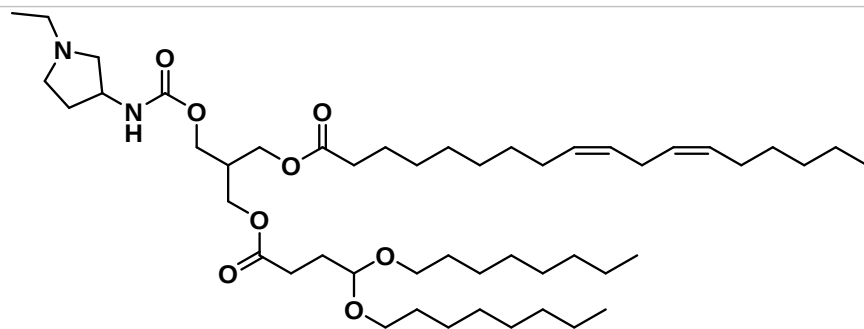
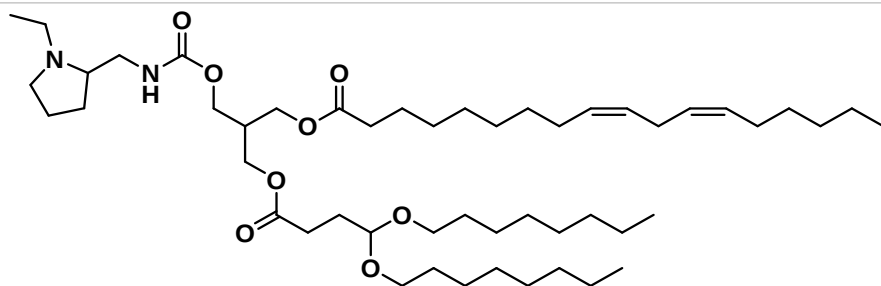
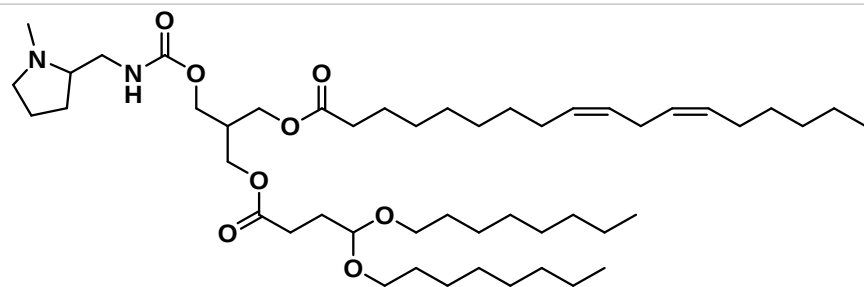
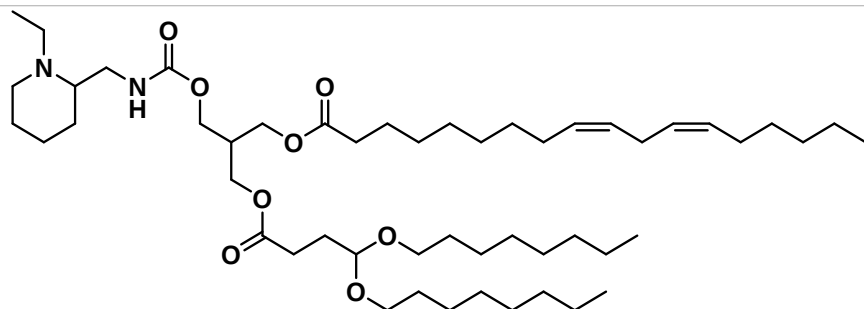


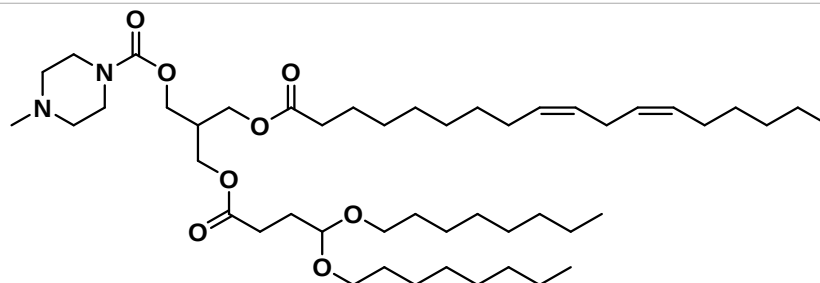
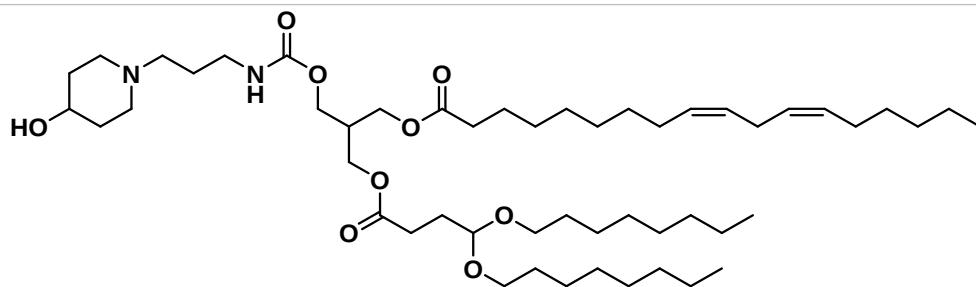
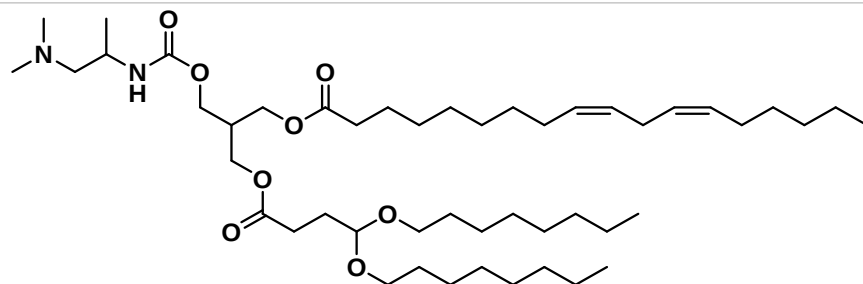
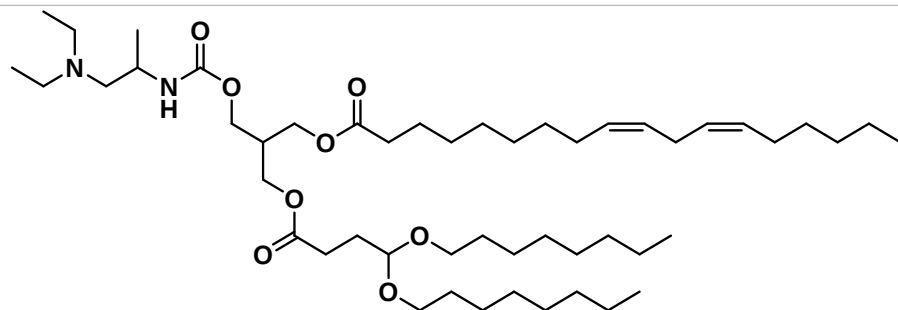
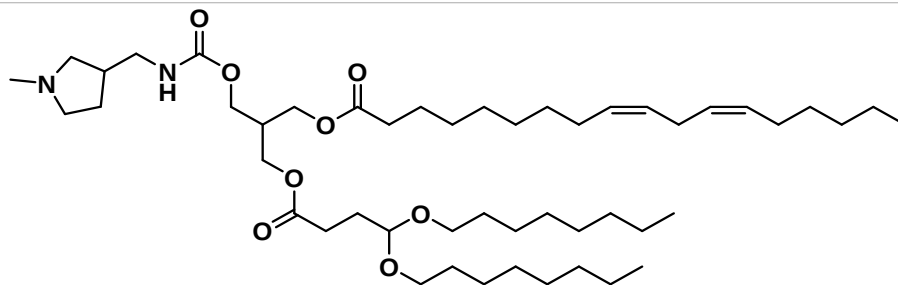


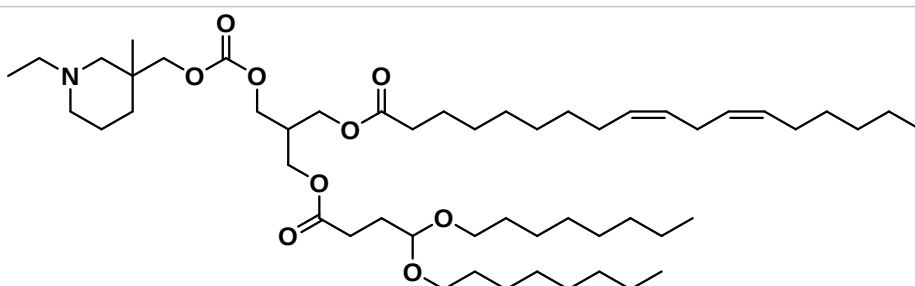
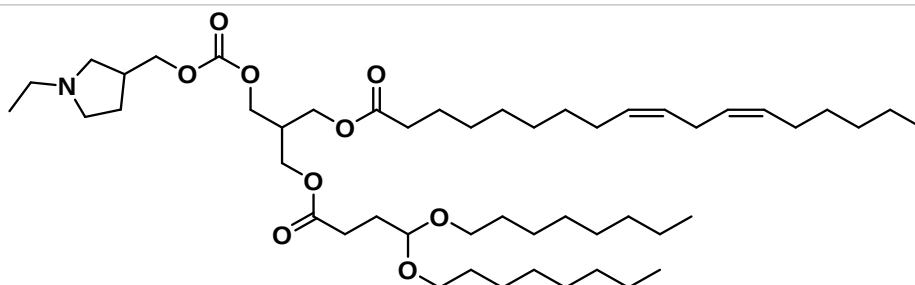
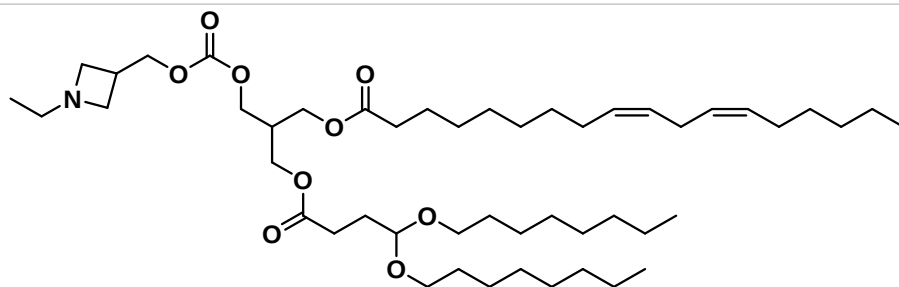
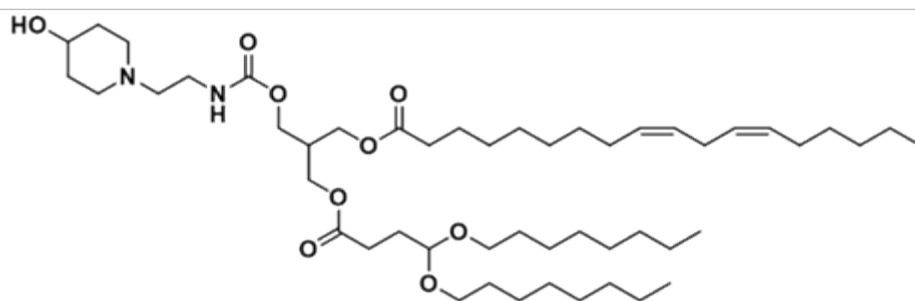
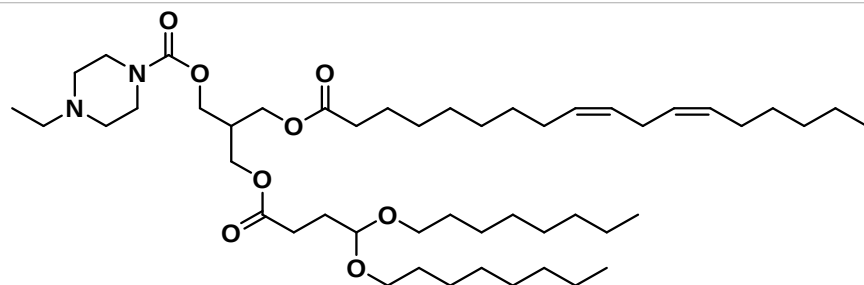


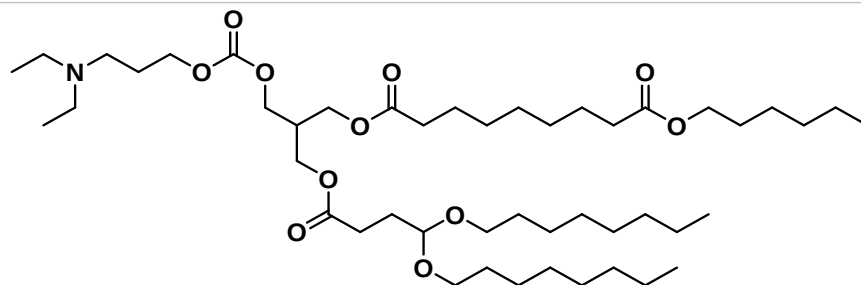
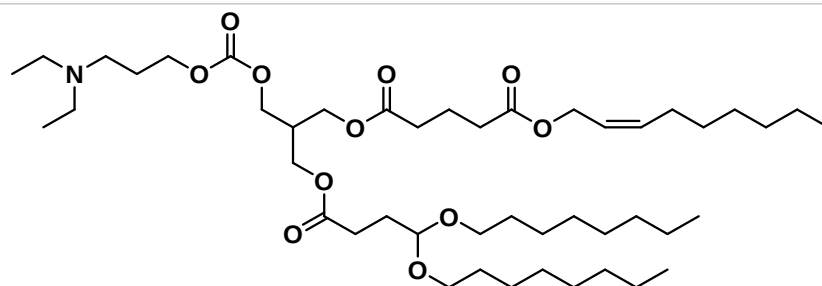
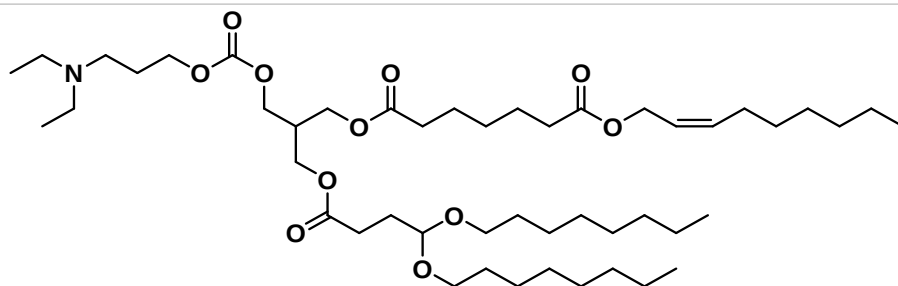
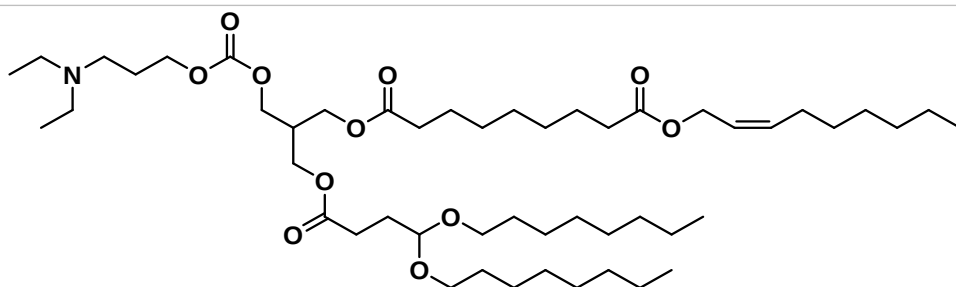
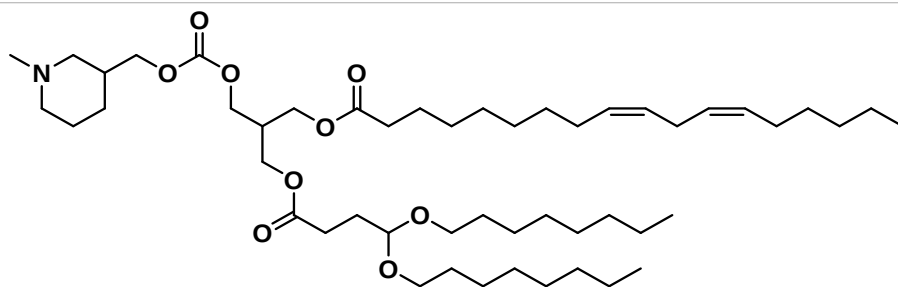


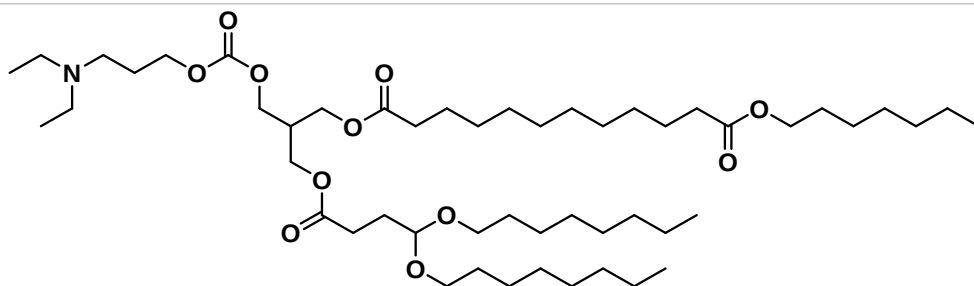
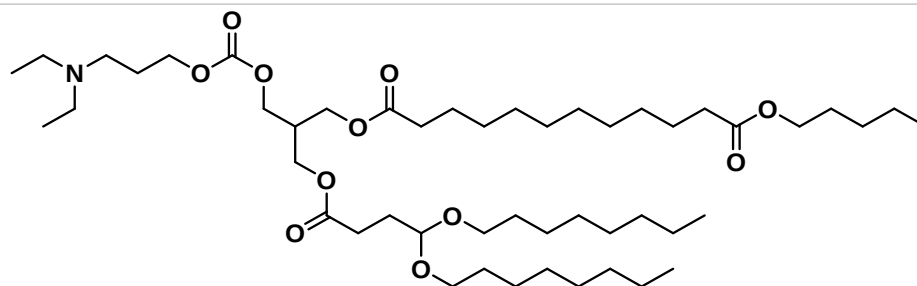
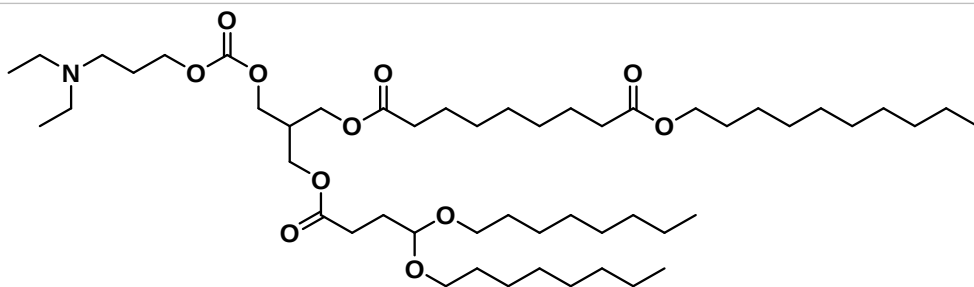
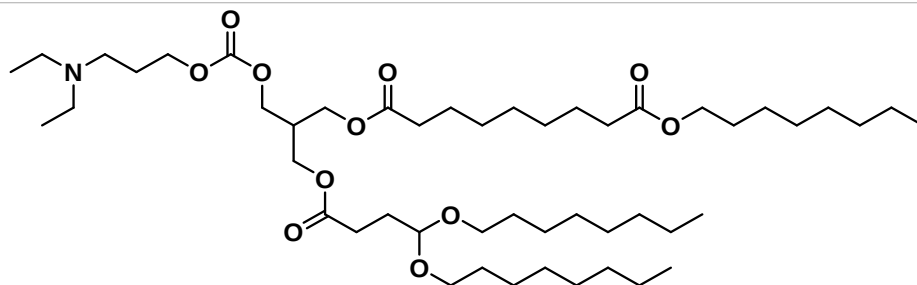


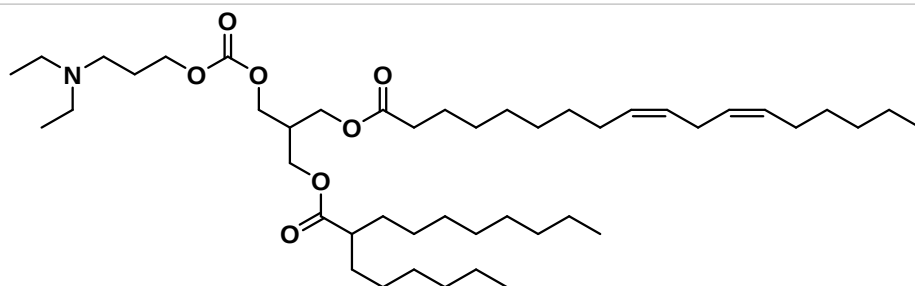
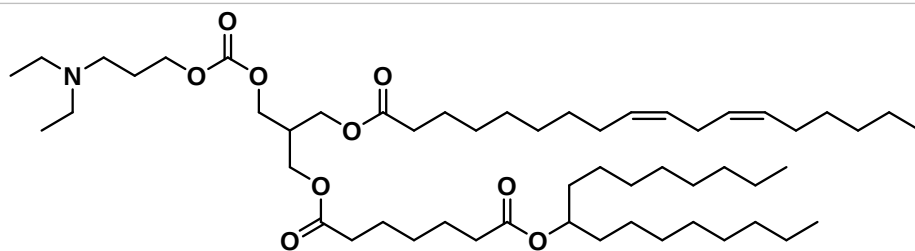
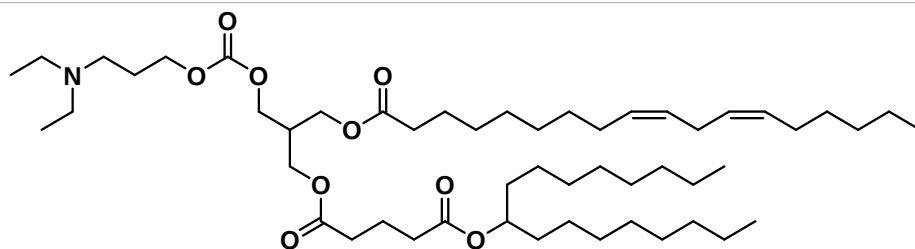


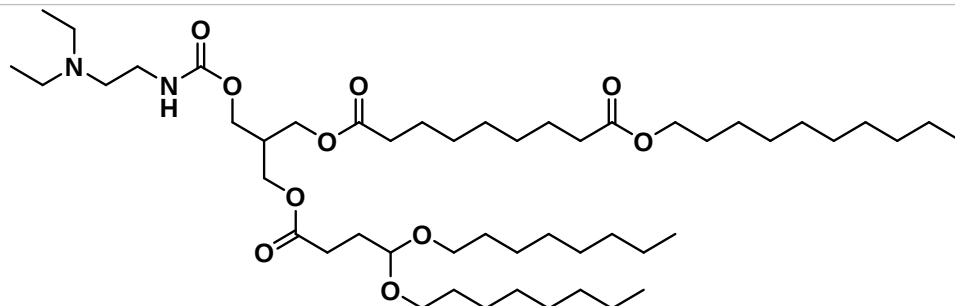
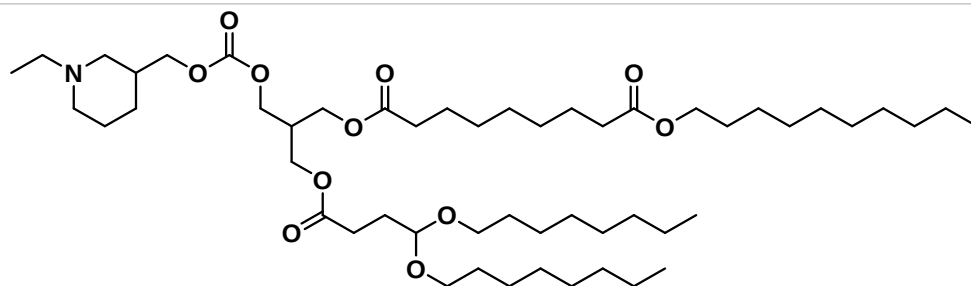
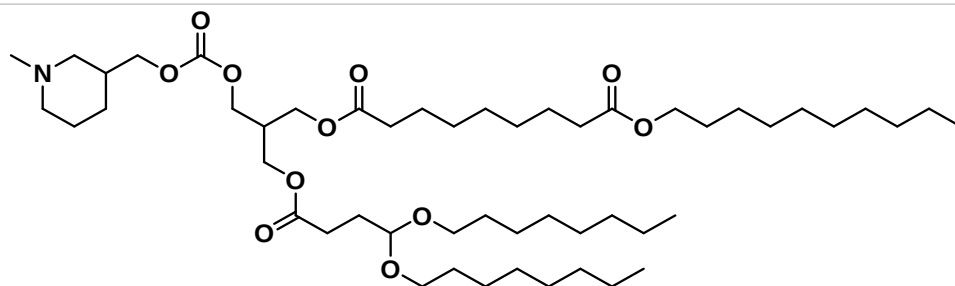
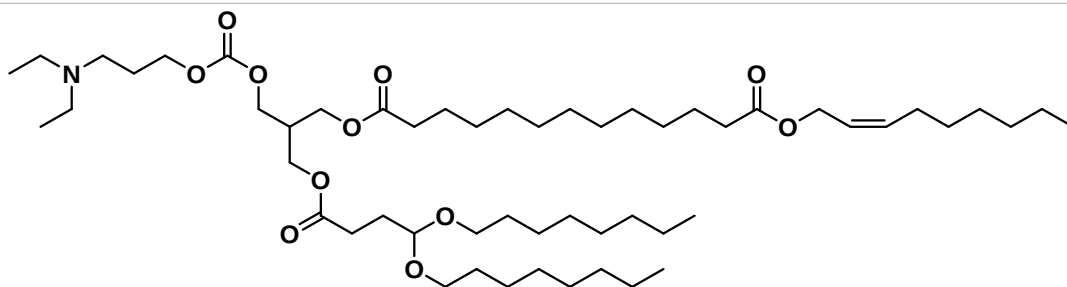
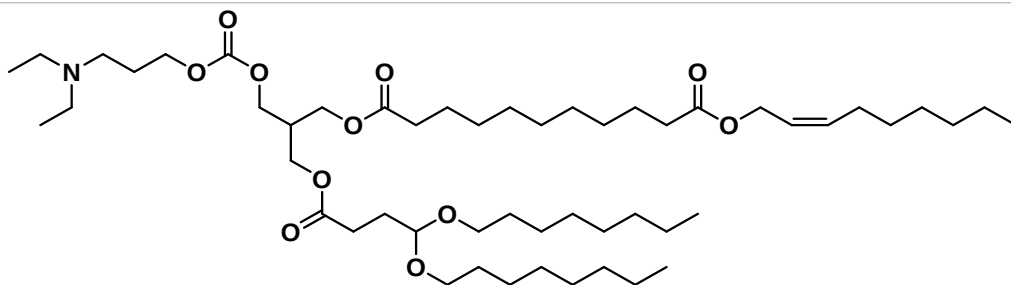


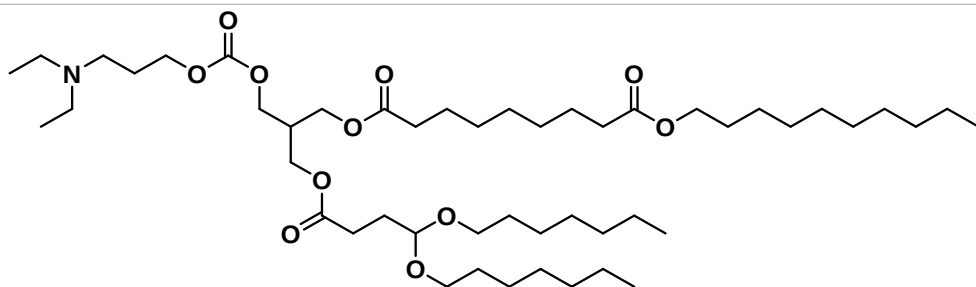
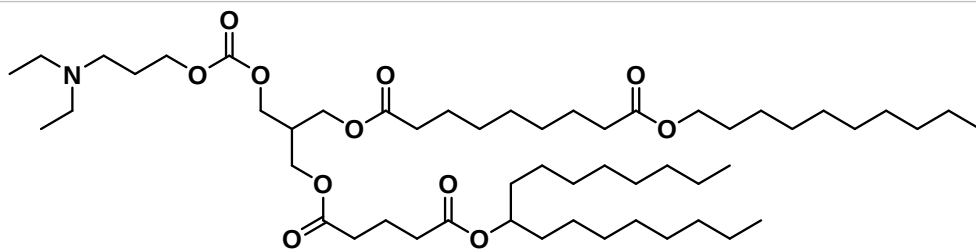
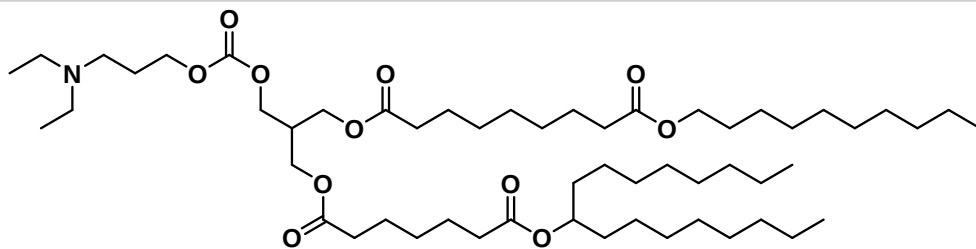
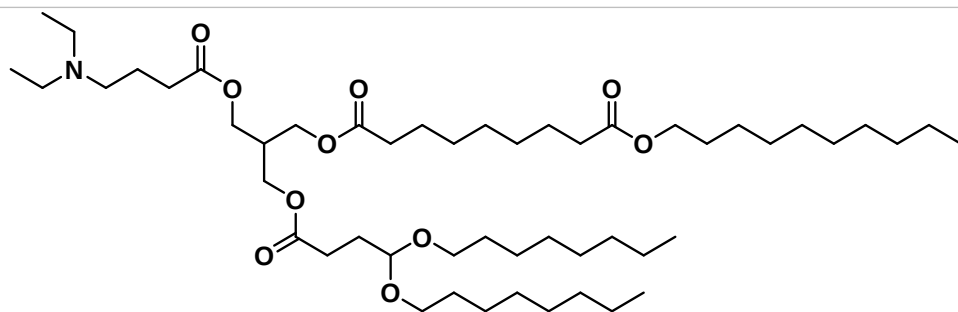
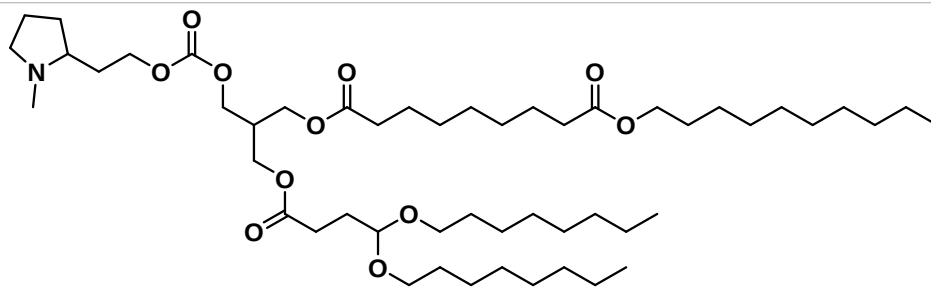


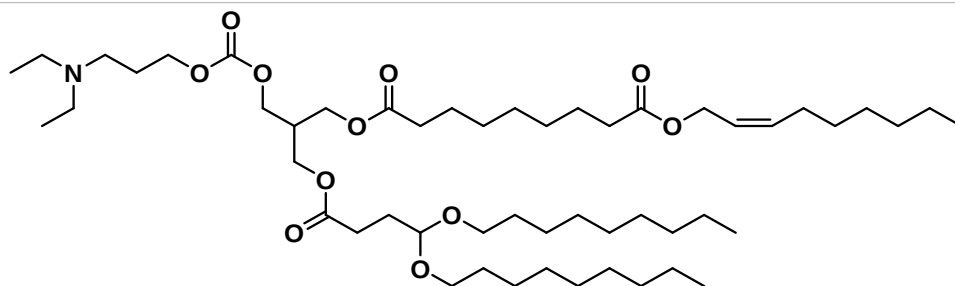
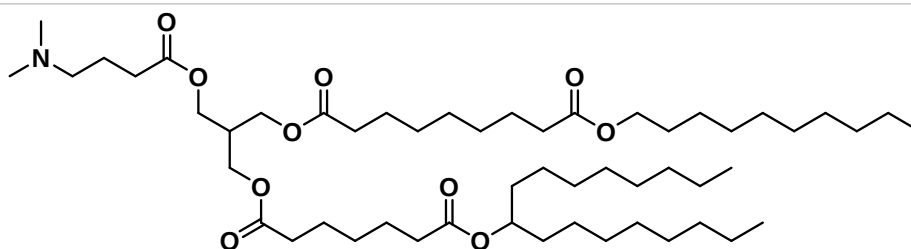
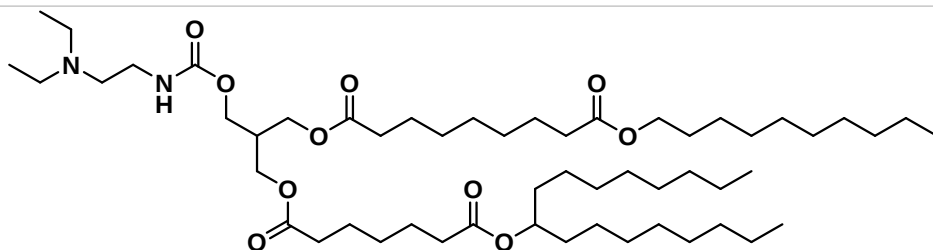
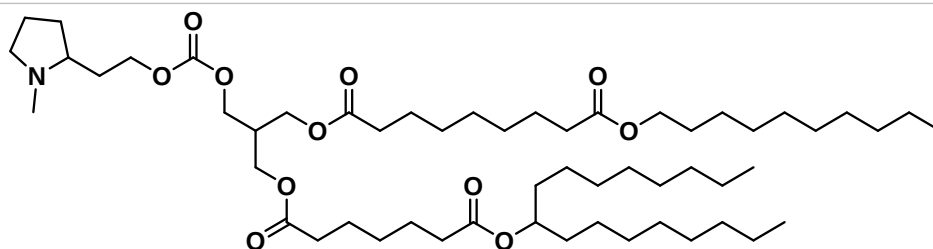
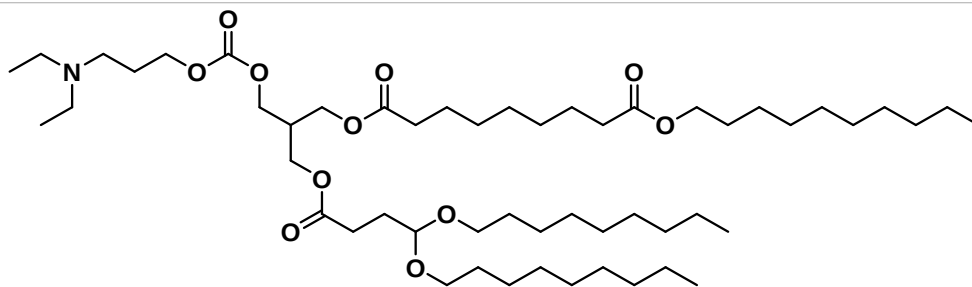


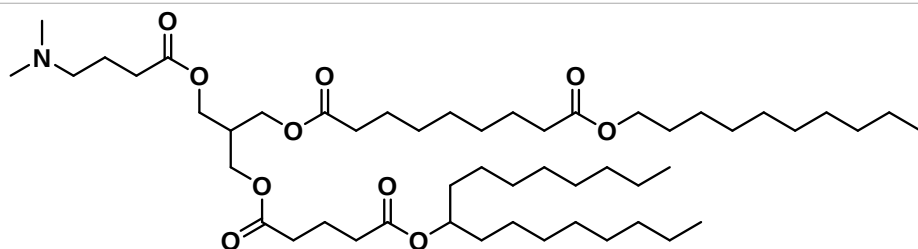
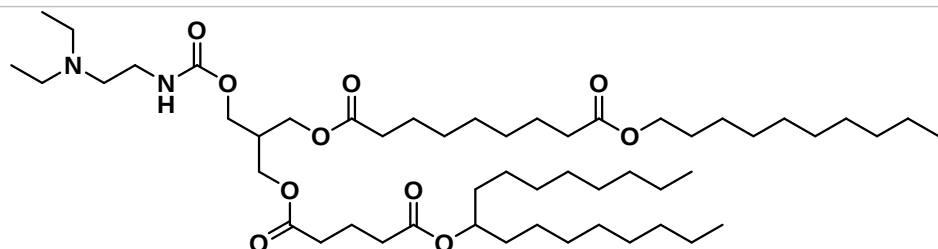
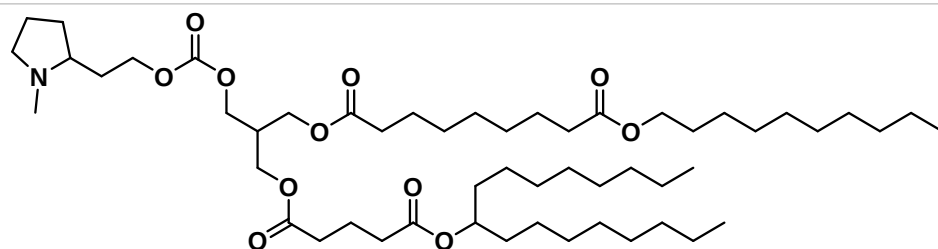
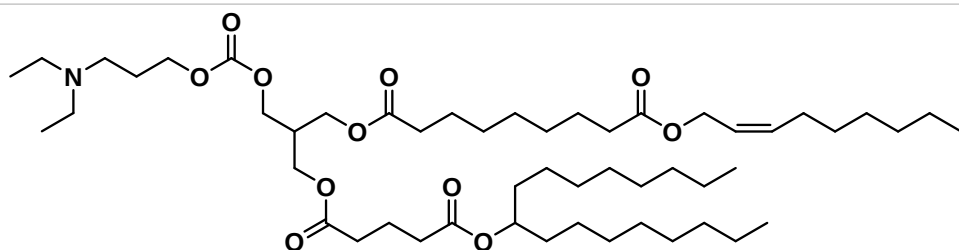
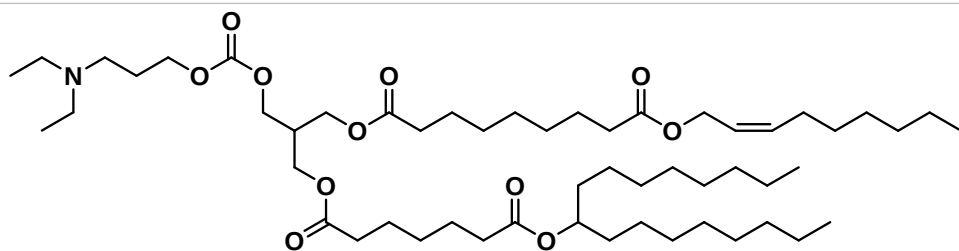
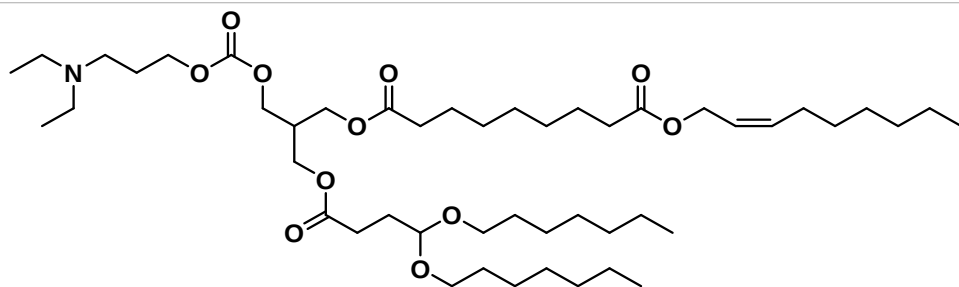


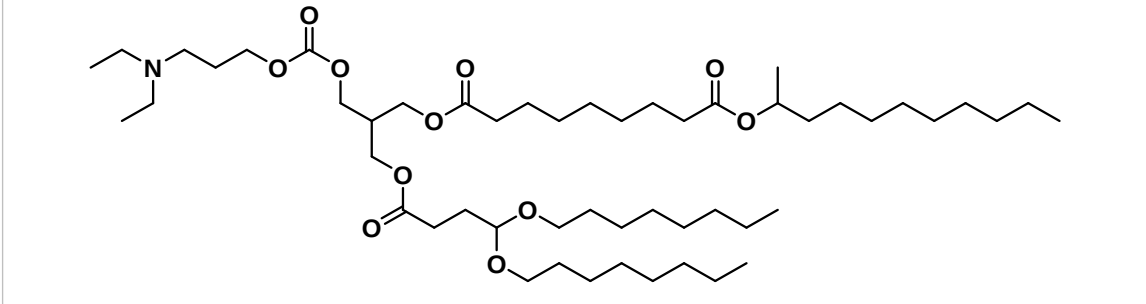
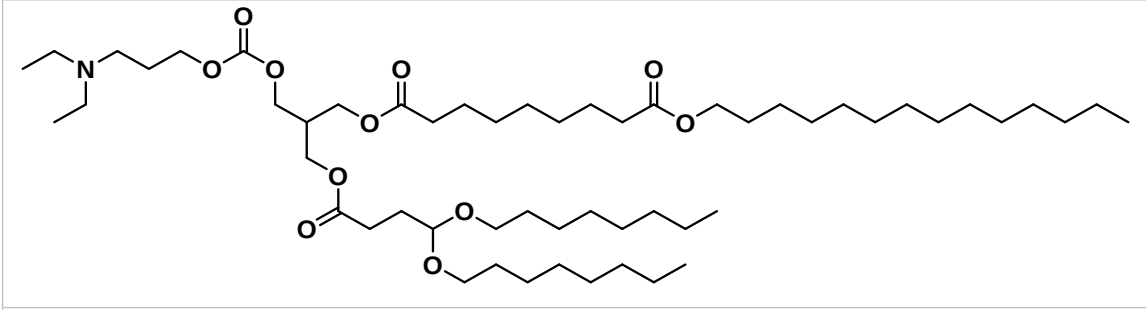
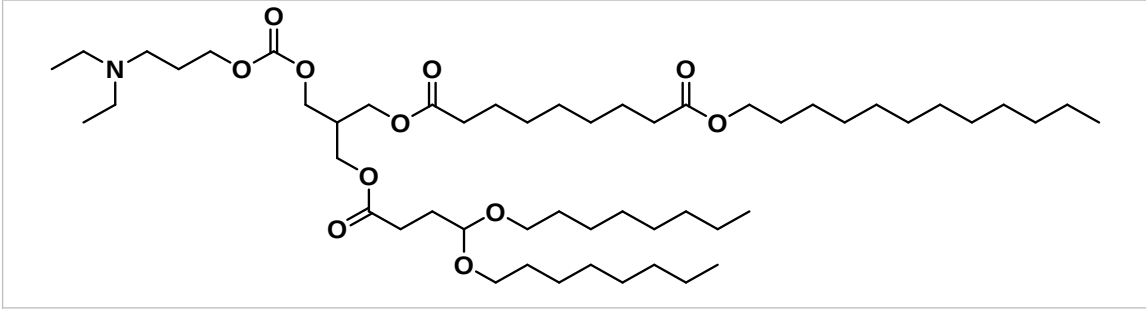
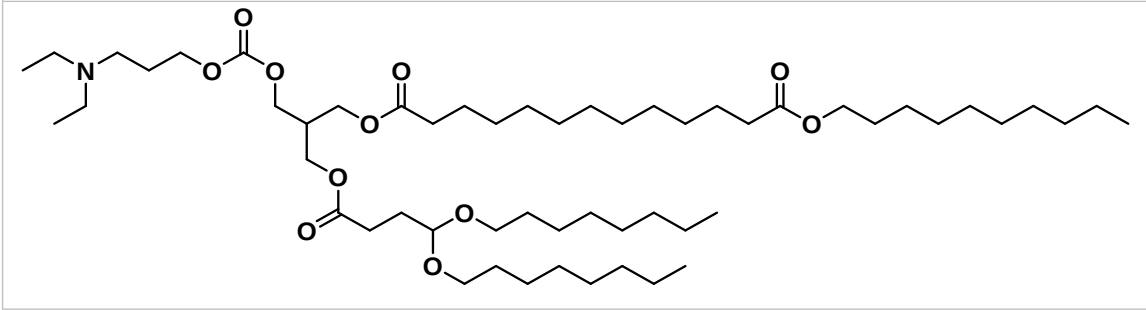
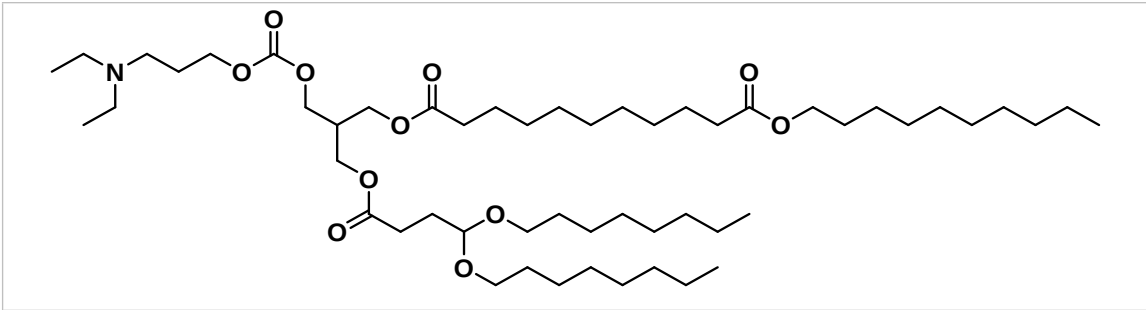


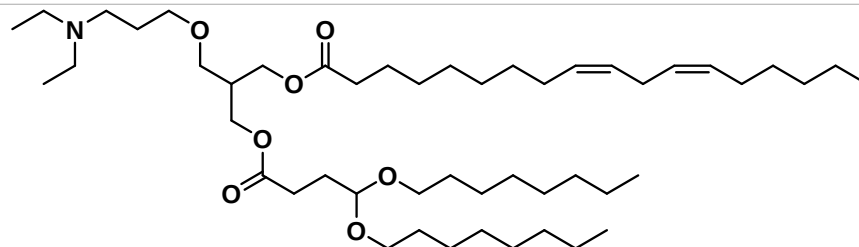
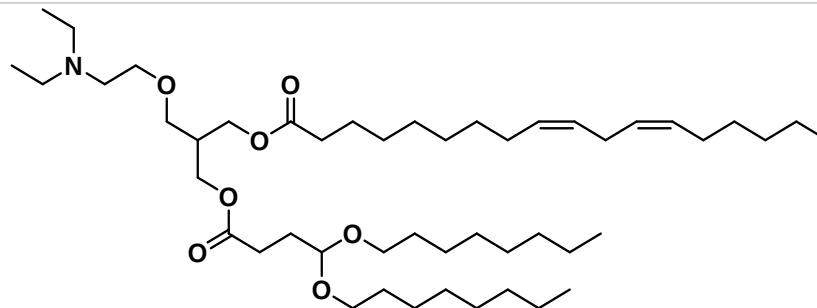
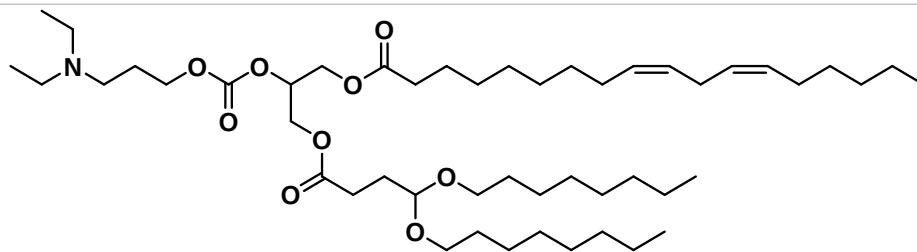
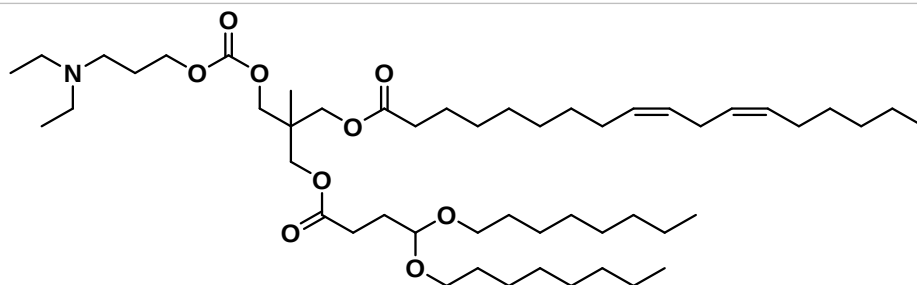
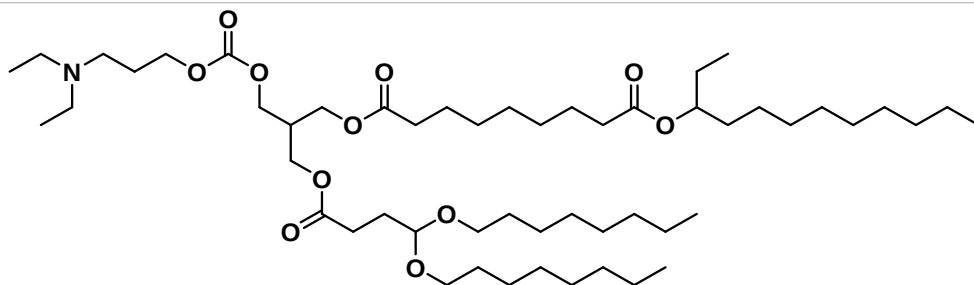


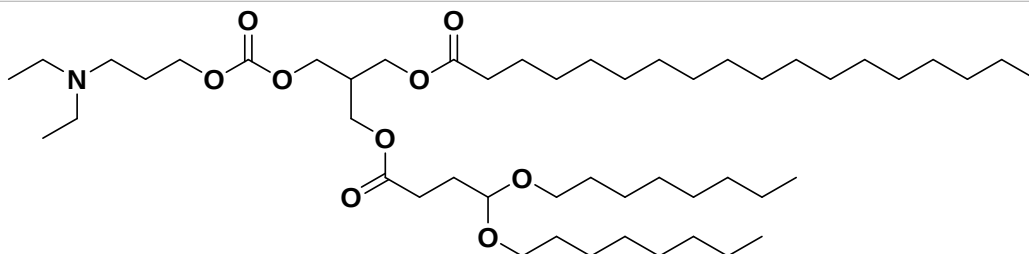
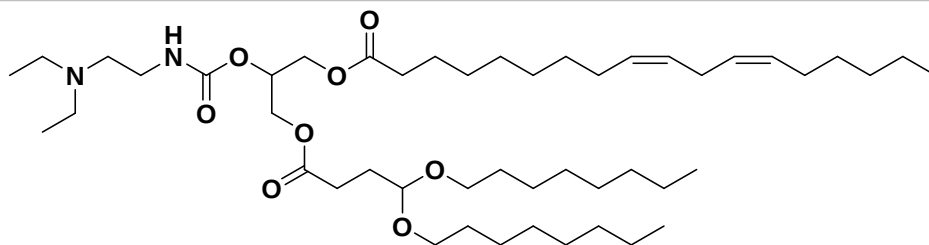
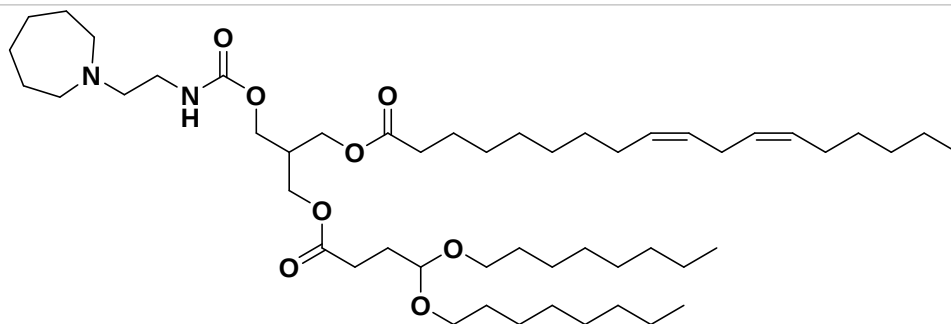
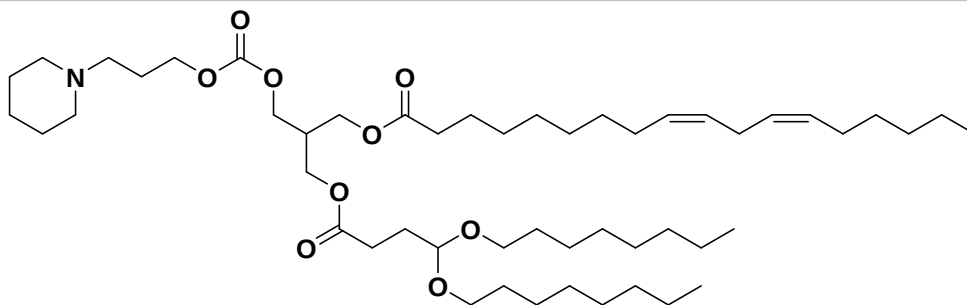
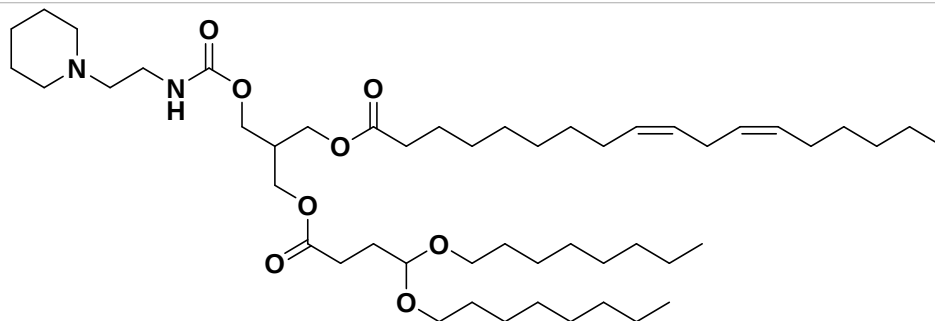


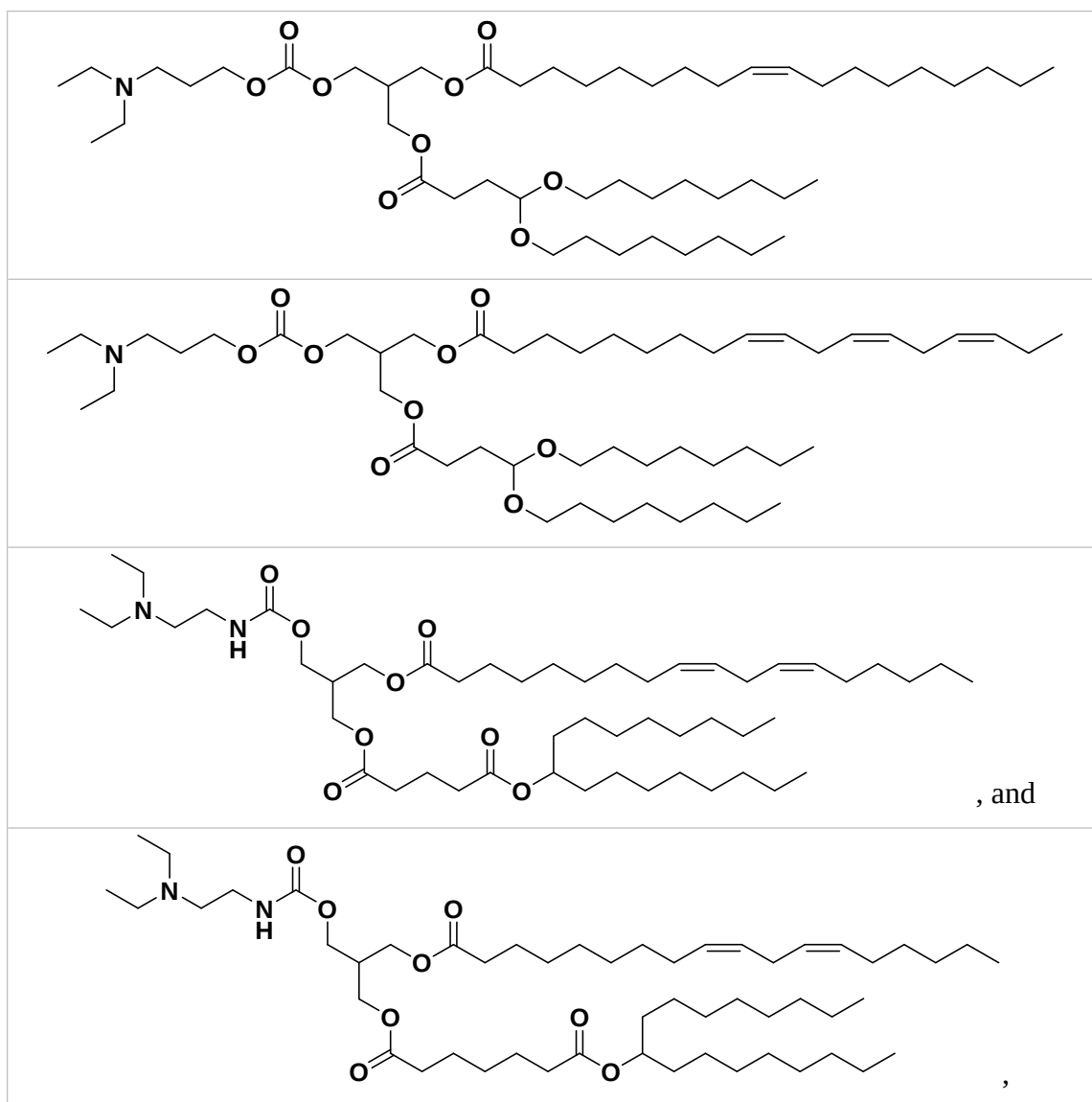












o una sal de los mismos

16. Una composición de nanopartículas lipídicas (LNP) que comprende un componente lipídico, en la que el componente lipídico comprende un compuesto de cualquiera de las reivindicaciones anteriores; y en el que el componente lipídico comprende además un lípido auxiliar, un lípido PEG y un lípido neutro.

17. La composición de LNP de la reivindicación 16, en la que:

la composición comprende un componente acuoso que comprende un agente biológicamente activo,

el agente biológicamente activo comprende un ácido nucleico, y

la composición de LNP tiene una relación N/P de alrededor de 6 ± 1 .

18. La composición de LNP de la reivindicación 16 ó 17, que comprende además un componente de ARN, en la que el componente de ARN comprende una secuencia que codifica un agente de unión a ADN guiado por ARN.

19. La composición de LNP de la reivindicación 18, en la que el componente de ARN comprende un ARNm de nucleasa Cas.

20. La composición de LNP de la reivindicación 18 o 19, en la que el componente de ARN comprende un ácido nucleico de ARNg.

21. La composición de LNP de cualquiera de las reivindicaciones 17-20, que comprende además al menos un ácido nucleico molde.

22. Un método de edición de genes, un método de suministro de un componente de ARN a una célula, o un método de escisión de ADN, que comprende poner en contacto una célula con una composición de cualquiera de las reivindicaciones 16-21.