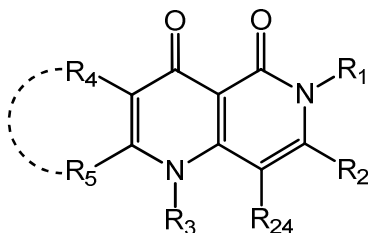


REIVINDICACIONES

1. Un compuesto de la fórmula (I'), en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable:

5



10

(I')

en donde:

a) R_1 es un sistema de anillo no aromático monocíclico de cinco a siete miembros saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_6 ;

15

y

R_2 es alquilo de 2 a 6 átomos de carbono, el cual puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_7 ;

20

o R_2 es $-X_1-R_8$; $-X_1-$ es $-O-$, $-S-$ o $-N(R_9)-$; R_9 es hidrógeno o alquilo de 1 a 4 átomos de carbono; y R_8 es alquilo de 1 a 6 átomos de carbono que puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{10} ;

25

o R_2 es un sistema de anillo aromático monocíclico

de tres a siete miembros o no aromático saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{11} ;

o

b) R_1 es:



en donde el anillo de fenilo se une por medio del enlace marcado con un asterisco;

15 cada R_{12} es independientemente hidrógeno, halógeno, hidroxilo, amino, ciano, nitro, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, halo-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, hidroxil-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alcóxido de 1 a 4 átomos de carbono-
 20 alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono-amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alcóxido de 1 a 4 átomos de carbono, halo-alcóxido de 1 a 4 átomos de carbono, alquilo de 1 a 4
 25 átomos de carbono-amino, o di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-

amino; o cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono, en donde un átomo de carbono puede ser reemplazado por un átomo de oxígeno, en donde el cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono se puede unir directamente o por medio de un alquileo de 1 a 2 átomos de carbono, y en donde el cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono puede estar sustituido una vez o más de una vez por halógeno;

y

R_2 es alquilo de 2 a 7 átomos de carbono, el cual puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{13} ;

o R_2 es $-X_2-R_{14}$; $-X_2-$ es $-O-$, $-S-$ o $-N(R_{15})-$; R_{15} es hidrógeno o alquilo de 1 a 4 átomos de carbono; y R_{14} es alquilo de 1 a 6 átomos de carbono que puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{16} ;

o R_2 es un sistema de anillo no aromático monocíclico de tres a siete miembros saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{17} ;

o

c) R_1 es un anillo seleccionado a partir de pirrolilo, pirazolilo, tiofenilo o piridin-2-ilo, cuyo anillo puede estar sustituido por alquilo de 1 a 3 átomos de carbono;

y

R_2 es alquilo de 2 a 7 átomos de carbono, el cual

puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{13} ;

o R_2 es $-X_2-R_{14}$; $-X_2-$ es $-O-$, $-S-$ o $-N(R_{15})-$; R_{15} es hidrógeno o alquilo de 1 a 4 átomos de carbono; y R_{14} es alquilo de 1 a 6 átomos de carbono que puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{16} ;

o R_2 es un sistema de anillo no aromático monocíclico de tres a siete miembros saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{17} ;

R_3 es hidrógeno o $-CH_2R_{18}$;

R_{18} es hidrógeno, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alqueno de 2 a 6 átomos de carbono, cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono, alcoxilo de 1 a 3 átomos de carbono-alquilo de 1 a 3 átomos de carbono, hidroxialquilo de 1 a 3 átomos de carbono o aminoalquilo de 1 a 3 átomos de carbono;

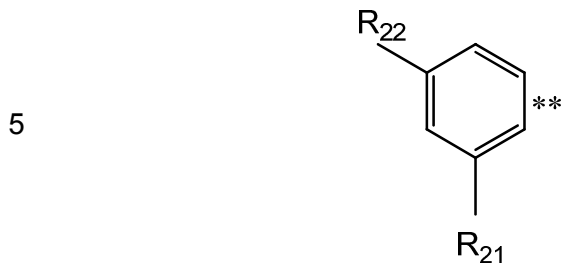
R_4 y R_5 se seleccionan independientemente a partir de hidrógeno, alquilo de 1 a 3 átomos de carbono;

o

R_4 y R_5 junto con el enlace con el que están unidos, forman un anillo que se selecciona a partir de:

- un anillo carbocíclico no aromático monocíclico de 5 a 7 miembros, el cual puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{19} ;

- un anillo de tiofeno, el cual puede estar sustituido una vez por R_{20} ;



- , el cual se fusiona al resto de la molécula por medio del enlace marcado con dos asteriscos;

10 R_{19} y R_{20} se seleccionan independientemente a partir de halógeno, alquilo de 1 a 3 átomos de carbono;

15 R_{21} es hidrógeno, halógeno, hidroxilo, amino, ciano, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, halo-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, hidroxil-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alcóxido de 1 a 4 átomos de carbono-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono-amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alcóxido de 1 a 4 átomos de carbono, halo-alcóxido de 1 a 4 átomos de carbono, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono-amino, o di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-amino;

20

25 o un sistema de anillo aromático monocíclico de tres a siete miembros o no aromático saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, en donde este sistema de anillo se puede unir directamente o por medio de un

alquileo de 1 a 2 átomos de carbono, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{23} ;

o

R_3 y R_{21} tomados juntos son $-\text{CH}_2-\text{CH}_2-$;

5 R_{22} es hidrógeno, halógeno, hidroxilo, ciano, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, halo-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, hidroxil-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alcoxilo de 1 a 4 átomos de carbono-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono-amino-
10 alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-amino-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alqueno de 2 a 4 átomos de carbono, alquino de 2 a 4 átomos de carbono, alcoxilo de 1 a 4 átomos de carbono, o halo-alcoxilo de 1 a 4 átomos de carbono; o cicloalquilo de 3 a 4 átomos de carbono, en donde un
15 átomo de carbono puede ser reemplazado por un átomo de oxígeno, en donde el cicloalquilo de 3 a 4 átomos de carbono se puede unir directamente o por medio de un alquileo de 1 a 2 átomos de carbono, y en donde el cicloalquilo de 3 a 4 átomos de carbono puede estar sustituido una vez o más de una vez por halógeno;

20 R_6 , R_{11} , R_{17} y R_{23} son cada uno independientemente halógeno, hidroxilo, amino, ciano, nitro, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, halo-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, hidroxil-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alcoxilo de 1 a 4 átomos de carbono-alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, amino-alquilo de 1 a 4 átomos
25 de carbono, alquilo de 1 a 4 átomos de carbono-amino-alquilo de 1 a

4 átomos de carbono, di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-amino-
 alquilo de 1 a 4 átomos de carbono, alcoxilo de 1 a 4 átomos de
 carbono, halo-alcoxilo de 1 a 4 átomos de carbono, alquilo de 1 a 4
 átomos de carbono-amino, o di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-
 5 amino;

o cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono, en donde un
 átomo de carbono puede ser reemplazado por un átomo de oxígeno,
 en donde el cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono se puede unir
 directamente o por medio de un alquileo de 1 a 2 átomos de
 10 carbono, y en donde el cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono
 puede estar sustituido una vez o más de una vez por halógeno;

o dos R_6 , R_{11} , R_{17} y R_{23} en el mismo átomo del anillo son
 juntos oxo;

o dos R_6 , R_{11} , R_{17} y R_{23} en el mismo átomo de carbono
 15 del anillo junto con ese átomo de carbono, forman un cicloalquilo de
 3 a 6 átomos de carbono;

R_7 , R_{10} , R_{13} y R_{16} son cada uno independientemente
 halógeno, hidroxilo, amino, ciano, nitro, alcoxilo de 1 a 4 átomos de
 carbono, halo-alcoxilo de 1 a 4 átomos de carbono, alquilo de 1 a 4
 20 átomos de carbono-amino, o di-(alquilo de 1 a 4 átomos de carbono)-
 amino;

o cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono, en donde un
 átomo de carbono puede ser reemplazado por un átomo de oxígeno,
 en donde el cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono se puede unir
 25 directamente o por medio de un alquileo de 1 a 2 átomos de

carbono, y en donde el cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono puede estar sustituido una vez o más de una vez por halógeno;

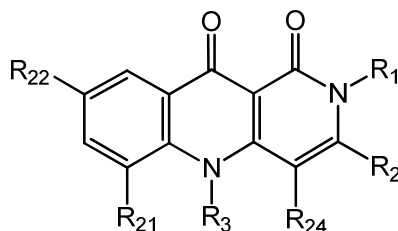
o dos R_7 , R_{10} , R_{13} o R_{16} en el mismo átomo de carbono son juntos oxo;

5 o dos R_7 , R_{10} , R_{13} o R_{16} en el mismo átomo de carbono junto con ese átomo de carbono, forman un cicloalquilo de 3 a 6 átomos de carbono;

R_{24} es hidrógeno o halógeno.

2. Un compuesto de la fórmula (Ia'), en forma libre o en una
10 forma de sal farmacéuticamente aceptable, de acuerdo con la reivindicación 1, el cual es:

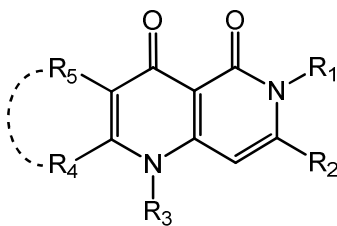
15



(Ia').

3. Un compuesto de la fórmula (Ib), en forma libre o en una
forma de sal farmacéuticamente aceptable, de acuerdo con la
20 reivindicación 1, el cual es:

25



(Ib).

4. Un compuesto de la fórmula (I'), en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable, de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3,

en donde:

5

R_1 es fenilo;

R_{12} por cada presentación es hidrógeno;

R_2 es alquilo de 2 a 7 átomos de carbono, el cual puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{13} ;

10 o R_2 es un sistema de anillo no aromático monocíclico de tres a siete miembros saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{17} .

15 5. Un compuesto de la fórmula (I'), en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable, de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3,

en donde:

20 R_1 es un anillo seleccionado a partir de pirazolilo, tiofenilo o piridin-2-ilo, cuyo anillo puede estar sustituido por alquilo de 1 a 3 átomos de carbono;

R_2 es alquilo de 2 a 7 átomos de carbono, el cual puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{13} ;

25 o R_2 es un sistema de anillo no aromático monocíclico de tres a siete miembros saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a

partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_{17} .

6. Un compuesto de la fórmula (I'), en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable, de acuerdo con
5 cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3,

en donde:

R_1 es un sistema de anillo no aromático monocíclico de cinco a siete miembros saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a
10 partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_6 ;

y

R_2 es alquilo de 2 a 6 átomos de carbono, el cual puede estar sustituido una vez o más de una vez por R_7 ;

15 o R_2 es un sistema de anillo aromático monocíclico de tres a siete miembros o no aromático saturado o insaturado, en donde este sistema de anillo puede contener de 1 a 4 heteroátomos seleccionados a partir de nitrógeno, oxígeno y azufre, y en donde este sistema de anillo puede estar sustituido una vez o más de una
20 vez por R_{11} .

7. Un compuesto de acuerdo con la reivindicación 1, en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable, el cual se selecciona a partir de:

25 3-ciclobutil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-
diona;

3-ciclobutil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;

3-isopropil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-
diona;

5 3-isopropil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;

8-fluoro-3-isopropil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;

10 8-fluoro-3-isopropil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-
naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;

8-cloro-3-isopropil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;

8-cloro-3-isopropil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-
naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;

15 3-isopropil-8-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;

3-isopropil-5,8-dimetil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;

20 9-isopropil-8-fenil-1H-indolo[1,7-ab][1,6]-naftiridina-
6,7(2H,8H)-diona;

7-isopropil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-naftiridina-
4,5(6H,9H)-diona;

7-isopropil-9-metil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-naftiridina-
4,5(6H,9H)-diona;

25 7-isopropil-2-metil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-naftiridina-

- 4,5(6H,9H)-diona;
 7-isopropil-2,9-dimetil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-
 naftiridina-4,5(6H,9H)-diona;
 6-isopropil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-naftiridina-
 5 8,9(4H,7H)-diona;
 6-isopropil-4-metil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-naftiridina-
 8,9(4H,7H)-diona;
 6-isopropil-2-metil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-naftiridina-
 8,9(4H,7H)-diona;
 10 6-isopropil-2,4-dimetil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-
 naftiridina-8,9(4H,7H)-diona;
 6-isopropil-3-metil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-naftiridina-
 8,9(4H,7H)-diona;
 6-isopropil-3,4-dimetil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-
 15 naftiridina-8,9(4H,7H)-diona;
 3-isopropil-2-fenil-6,7,8,9-tetrahidro-benzo-[b][1,6]-
 naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
 3-isopropil-2-fenil-5,6,7,8-tetrahidro-1H-ciclopenta-
 [b][1,6]-naftiridina-1,9(2H)-diona;
 20 3-ciclobutil-5-metil-2-fenil-5,6,7,8-tetrahidro-1H-
 ciclopenta-[b][1,6]-naftiridina-1,9(2H)-diona;
 7-ciclobutil-1,2,3-trimetil-6-fenil-1,6-naftiridina-
 4,5(1H,6H)-diona;
 3-ciclobutil-2-fenil-5,6,7,8-tetrahidro-1H-ciclopenta-
 25 [b][1,6]-naftiridina-1,9(2H)-diona;

7-ciclobutil-2,3-dimetil-6-fenil-1,6-naftiridina-4,5(1H,6H)-
diona;

3-ciclobutil-5-metil-2-fenil-6,7,8,9-tetrahidro-benzo-
[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;

5 7-ciclobutil-9-metil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-naftiridina-
4,5(6H,9H)-diona;

3-ciclobutil-2-fenil-6,7,8,9-tetrahidro-benzo-[b][1,6]-
naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;

10 7-ciclobutil-2,9-dimetil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-
naftiridina-4,5(6H,9H)-diona;

7-ciclobutil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-naftiridina-
4,5(6H,9H)-diona;

7-ciclobutil-2-metil-6-fenil-tieno-[2,3-b][1,6]-naftiridina-
4,5(6H,9H)-diona;

15 6-ciclobutil-4-metil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-naftiridina-
8,9(4H,7H)-diona;

6-ciclobutil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-naftiridina-
8,9(4H,7H)-diona;

20 6-ciclobutil-2,4-dimetil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-
naftiridina-8,9(4H,7H)-diona;

6-ciclobutil-2-metil-7-fenil-tieno-[3,2-b][1,6]-naftiridina-
8,9(4H,7H)-diona;

3-ciclobutil-5,8-dimetil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;

25 3-ciclobutil-8-fluoro-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-

- naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 8-cloro-3-ciclobutil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-8-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 5 8-cloro-3-ciclobutil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 3-isopropil-6-metoxi-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 10 3-ciclobutil-8-fluoro-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 9-ciclobutil-8-fenil-1H-indolo[1,7-ab][1,6]-naftiridina-6,7(2H,8H)-diona;
- 3-ciclobutil-6-metoxi-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 15 3-isopropil-6-metoxi-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-6-metoxi-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 20 3-isopropil-8-metoxi-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 3-isopropil-8-metoxi-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 25 8-hidroxi-3-isopropil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;

- 6-hidroxi-3-isopropil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-
naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-2-ciclopentil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
5 1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-2-ciclopentil-5-metil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;
- 2-ciclopentil-3-isopropil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;
- 10 2-ciclopentil-3-isopropil-5-metil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-2-(piridin-2-il)-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-5-metil-2-(piridin-2-il)-benzo-[b][1,6]-
15 naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-2-(pirrolidin-1-il)-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;
- 3-ciclobutil-5-metil-2-(pirrolidin-1-il)-benzo-[b][1,6]-
naftiridina-1,10(2H,5H)-diona;
- 20 4-cloro-3-isopropil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-naftiridina-
1,10(2H,5H)-diona;
- 4-cloro-3-isopropil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-
naftiridina-1,10(2H,5H)-diona; y
- 4-bromo-3-isopropil-5-metil-2-fenil-benzo-[b][1,6]-
25 naftiridina-1,10(2H,5H)-diona.

8. Una composición farmacéutica, la cual comprende una cantidad terapéuticamente efectiva de un compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, y uno o más vehículos farmacéuticamente aceptables.

5 9. Una combinación que comprende una cantidad terapéuticamente efectiva del compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, y uno o más agentes terapéuticamente activos.

10 10. Un compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable, para utilizarse como un medicamento.

15 11. Un compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable, para utilizarse en el tratamiento de una enfermedad causada por una mutación sin sentido.

20 12. Un método para suprimir el efecto de las mutaciones sin sentido en un sujeto, en donde el método comprende administrar al sujeto, una cantidad terapéuticamente efectiva del compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, en forma libre o en una forma de sal farmacéuticamente aceptable.

25 13. Un método para el tratamiento de una enfermedad causada por mutaciones sin sentido en un sujeto, en donde el método comprende administrar al sujeto, una cantidad terapéuticamente efectiva de un compuesto de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, en forma libre o en una

forma de sal farmacéuticamente aceptable.

14. Un método de acuerdo con la reivindicación 13, en donde la enfermedad se selecciona a partir de hemofilia A, hemofilia B, fibrosis quística, mucopolisacaridosis I, distrofia muscular de Duchenne, distrofia muscular de Becker, cáncer causado por pérdida de APC y cáncer causado por pérdida de p53.

10

15

20

25