

NOVEDAD DE LA INVENCION**REIVINDICACIONES**

5 1.- Un ARN de doble cadena, que comprende una primera secuencia de ARN y una segunda secuencia de ARN, en donde la primera y segunda secuencias de ARN son sustancialmente complementarias, en donde la primera secuencia de ARN tiene una longitud de secuencia de por lo menos 19 nucleótidos y es sustancialmente complementaria con SEQ ID NO. 1.

10 2.- El ARN de doble cadena de conformidad con la reivindicación 1, caracterizado además porque dicho ARN de doble cadena es capaz de reducir la expresión del gen de la huntingtina.

3.- El ARN de doble cadena de conformidad con la reivindicación 1 o la reivindicación 2, caracterizado además porque el ARN de doble cadena está comprendido en un andamio de pre-ARNmi, un andamio de pri-ARNmi, un ARNsh o un ARNsi, de preferencia un andamio de pre-ARNmi.

15 4.- El ARN de doble cadena de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3, caracterizado además porque la primera secuencia de ARN tiene una longitud de secuencia de por lo menos 20 nucleótidos, de preferencia de por lo menos 21 nucleótidos.

20 5.- El ARN de doble cadena de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 4, caracterizado además porque la primera secuencia de ARN es completamente complementaria a SEQ ID. NO. 1.

6.- El ARN de doble cadena de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 5, caracterizado además porque la primera cadena se selecciona del grupo que consiste de SEQ ID NO. 3, SEQ ID NO. 4, SEQ ID NO. 5, SEQ ID NO. 6 y SEQ ID NO. 7.

25 7.- El ARN de doble cadena de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 6, caracterizado además porque la primera cadena y la segunda cadena se seleccionan del grupo que consiste de las combinaciones de SEQ ID NO. 3 y 8; SEQ ID NO. 4 y 9; SEQ ID NO. 5 y 10; SEQ ID NO. 5 y 13; SEQ ID NO. 5 y 14; SEQ ID NO. 6 y 11; y SEQ ID NO. 7 y 12.

30 8.- El ARN de doble cadena de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 7, caracterizado además porque el ARN de doble cadena está comprendido en un andamio de pre-ARNmi derivado de miR-451a o miR-155.

9.- Una secuencia de ADN que codifica para el ARN de doble cadena de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 8.

10.- Un cassette de expresión que codifica para un ARN de doble cadena de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 9.

11.- El cassette de expresión de conformidad con la reivindicación 10, caracterizado además porque el cassette de expresión comprende el promotor de PGK, un promotor de CMV, un promotor neuroespecífico o un promotor de CBA.

5 12.- Un vector de terapia génica que comprende el cassette de expresión de la reivindicación 10 u 11.

13.- El vector de terapia génica de conformidad con la reivindicación 12, caracterizado además porque el vector de terapia génica es un vector de AAV, de preferencia un vector de AAV de serotipo 5.

10 14.- Una célula hospedera, que comprende la secuencia de ADN de la reivindicación 9 o el cassette de expresión de la reivindicación 10 o la reivindicación 11.

15.- El ARN de doble cadena de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 8, una secuencia de ADN de la reivindicación 9, un cassette de expresión de la reivindicación 10 o la reivindicación 11, y un vector de terapia génica de la reivindicación 12 o la reivindicación 13, para usarse en un tratamiento médico.

15 16.- El ARN de doble cadena de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 8, una secuencia de ADN de la reivindicación 9, un cassette de expresión de la reivindicación 10 o la reivindicación 11, y un vector de terapia génica de la reivindicación 12 o la reivindicación 13, para usarse en el tratamiento de la enfermedad de Huntington.