

REIVINDICACIONES

1. Un compuesto que comprende un oligonucleótido modificado que consta de 16 a 20 nucleósidos enlazados que tienen una secuencia de nucleobases que comprenden cualquiera de las SEQ ID NOs: 440, 198, 228, 237, 444, 448, 450, 453, 455, 549 y 598, en las que el oligonucleótido modificado comprende:

un segmento interno que consta de 10 desoxinucleósidos enlazados;

un segmento externo 5' que consta de 3, 4 o 5 nucleósidos enlazados; y

un segmento externo 3' que consta de 3, 4 o 5 nucleósidos enlazados;

en donde el segmento interno se ubica entre el segmento externo 5' y el segmento externo 3' y en donde cada nucleósido de cada segmento externo comprende un azúcar 2'-O-metoxietilo o un azúcar cEt.

2. El compuesto de la reivindicación 1, en el que el oligonucleótido modificado consta de 20 nucleósidos enlazados que tienen una secuencia de nucleobases que consta de la secuencia indicada en SEQ ID NO: 440, 198, 228, 237, 444, 448, 450, 453 o 455, en las que el oligonucleótido modificado comprende

un segmento interno que consta de diez desoxinucleósidos enlazados;

un segmento externo 5' que consta de cinco nucleósidos enlazados; y

un segmento externo 3' que consta de cinco nucleósidos enlazados;

en donde el segmento interno se ubica entre el segmento externo 5' y el segmento externo 3', en donde cada nucleósido de cada segmento externo comprende un azúcar de 2'-O-metoxietilo; en donde cada enlace entre nucleósidos es un enlace de fosforotioato y en donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

3. El compuesto de la reivindicación 2, en el que el oligonucleótido modificado consta de 20 nucleósidos enlazados que tienen una secuencia de nucleobases que consta de la secuencia indicada en SEQ ID NO: 440, en las que el oligonucleótido modificado comprende

un segmento interno que consta de diez desoxinucleósidos enlazados;

un segmento externo 5' que consta de cinco nucleósidos enlazados; y

un segmento externo 3' que consta de cinco nucleósidos enlazados;

en donde el segmento interno se ubica entre el segmento externo 5' y el segmento externo 3', en donde cada nucleósido de cada segmento externo comprende un azúcar 2'-O-metoxietilo; en donde cada enlace entre nucleósidos es un enlace de fosforotioato y en donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

4. El compuesto de la reivindicación 1, en el que el oligonucleótido modificado consta de 16 nucleósidos enlazados que tienen una secuencia de nucleobases que consta de la secuencia indicada en SEQ ID NO: 598, en las que el oligonucleótido modificado comprende

un segmento interno que consta de diez desoxinucleósidos enlazados;

un segmento externo 5' que consta de tres nucleósidos enlazados; y

un segmento externo 3' que consta de tres nucleósidos enlazados;

en donde el segmento interno se ubica entre el segmento externo 5' y el segmento externo 3'; en donde el segmento externo 5' comprende un azúcar 2'-O-metoxietilo, un azúcar 2'-O-metoxietilo y un azúcar cEt en la dirección 5' a 3'; en donde el segmento externo 3' comprende un azúcar cEt, un azúcar cEt y un azúcar 2'-O-metoxietilo en la dirección 5' a 3'; en donde cada enlace entre nucleósidos es un enlace fosforotioato; y en donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

5. El compuesto de la reivindicación 1, en el que el oligonucleótido modificado consta de 16 nucleósidos enlazados que tienen una secuencia de nucleobases que consta de la secuencia indicada en SEQ ID NO: 549, en las que el oligonucleótido modificado comprende

un segmento interno que consta de diez desoxinucleósidos enlazados;

un segmento externo 5' que consta de tres nucleósidos enlazados; y

un segmento externo 3' que consta de tres nucleósidos enlazados;

en donde el segmento interno se ubica entre el segmento externo 5' y el segmento externo 3'; en donde cada nucleósido de cada segmento externo comprende un azúcar cEt; en donde cada enlace entre nucleósidos es un enlace de fosforotioato; y en donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

6. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-5, en el que el compuesto además comprende un grupo conjugado.

7. Una composición que comprende el compuesto de una cualquiera de las reivindicaciones 1-6 o sal del mismo y un vehículo farmacéuticamente aceptable.

8. Un método para tratar, prevenir o mejorar una enfermedad asociada con la desregulación de la vía alternativa del complemento en un sujeto comprende administrar al sujeto el compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-6, tratando, previniendo o mejorando así la enfermedad.

9. El método de la reivindicación 8, en donde la vía alternativa del complemento presenta una activación mayor que la normal.

- 10.** El método de la reivindicación 8, en donde la enfermedad es degeneración macular, degeneración macular relacionada con la edad (AMD), AMD húmeda, AMD seca, o Atrofia Geográfica.
- 11.** El método de la reivindicación 8, en donde la enfermedad es una enfermedad renal, lupus eritematoso sistémico (LES), enfermedad de depósito denso (DDD), glomerulonefritis C3 (C3GN), nefropatía CFHR5, o síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa).
- 12.** Uso de un compuesto de uno cualquiera de las reivindicaciones 1-6 en la manufactura de un medicamento para tratar, prevenir o mejorar una enfermedad asociada con la desregulación de la vía alternativa del complemento.
- 13.** El uso de la reivindicación 12, en donde la vía alternativa del complemento presenta una activación mayor que la normal.
- 14.** El uso de la reivindicación 12, en donde la enfermedad es degeneración macular, degeneración macular relacionada con la edad (AMD), AMD húmeda, AMD seca, o Atrofia Geográfica.
- 15.** El uso de la reivindicación 12, en donde la enfermedad es una enfermedad renal, lupus eritematoso sistémico (LES), enfermedad de depósito denso (DDD), glomerulonefritis C3 (C3GN), nefropatía CFHR5, o síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa).
- 16.** Un compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 6, o la composición de la reivindicación 6, para uso en el tratamiento, prevención o mejoramiento de una enfermedad asociada con la desregulación de la vía alternativa del complemento.
- 17.** El compuesto o composición para uso de acuerdo con la reivindicación 16, en donde la vía alternativa del complemento presenta una activación mayor que la normal.
- 18.** El compuesto o composición para uso de acuerdo con la reivindicación 16, en donde la enfermedad es degeneración macular, degeneración macular relacionada con la edad (AMD), AMD húmeda, AMD seca, o Atrofia Geográfica.
- 19.** El compuesto o composición para uso de acuerdo con la reivindicación 16, en donde la enfermedad es una enfermedad renal, lupus eritematoso sistémico (LES), enfermedad de depósito denso (DDD), glomerulonefritis C3 (C3GN), nefropatía CFHR5, o síndrome urémico hemolítico atípico (SUHa).