

REIVINDICACIONES

1. Una composición farmacéutica, caracterizada porque comprende:

- 5 a) Eteplirsén;
- b) cloruro de sodio;
- c) cloruro de potasio;
- d) fosfato de potasio monobásico;
- e) fosfato de sodio dibásico; y
- 10 f) agua,

 en donde la concentración de Eteplirsén es aproximadamente 50 mg/ml de la composición farmacéutica.

2. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 1, caracterizada porque comprende:

- 15 a) 40-60 mg de Eteplirsén;
- b) 6.4-9.6 mg de cloruro de sodio;
- c) 0.16-0.24 mg de cloruro de potasio;
- d) 0.16-0.24 mg de fosfato de potasio monobásico;
- e) 0.91-1.37 mg de fosfato de sodio dibásico; y
- 20 f) agua,

 en donde la concentración de Eteplirsén es aproximadamente 50 mg/ml de la composición farmacéutica.

3. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 2, caracterizada porque comprende

25 aproximadamente 50 mg de Eteplirsén.

4. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 1, caracterizada porque comprende:

- a) aproximadamente 50 mg de Eteplirsén;
- b) aproximadamente 8 mg de cloruro de sodio;
- 5 c) aproximadamente 0.2 mg de cloruro de potasio;
- d) aproximadamente 0.2 mg de fosfato de potasio monobásico;
- e) aproximadamente 1.14 mg de fosfato de sodio dibásico; y
- 10 f) agua,

en donde la concentración de Eteplirsén es aproximadamente 50 mg/ml de la composición farmacéutica.

5. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 1, caracterizada porque comprende:

- 15 a) 80-120 mg de Eteplirsén;
- b) 12.8-19.2 mg de cloruro de sodio;
- c) 0.32-0.48 mg de cloruro de potasio;
- d) 0.32-0.48 mg de fosfato de potasio monobásico;
- e) 1.02-1.54 mg de fosfato de sodio dibásico; y
- 20 f) agua,

en donde la concentración de Eteplirsén es aproximadamente 50 mg/ml de la composición farmacéutica.

6. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 5, caracterizada porque comprende
25 aproximadamente 100 mg de Eteplirsén.

7. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 5, caracterizada porque comprende:

- a) aproximadamente 100 mg de Eteplirsén;
- b) aproximadamente 16 mg de cloruro de sodio;
- 5 c) aproximadamente 0.4 mg de cloruro de potasio;
- d) aproximadamente 0.4 mg de fosfato de potasio monobásico;
- e) aproximadamente 2.28 mg de fosfato de sodio dibásico; y
- 10 f) agua,

en donde la concentración de Eteplirsén es aproximadamente 50 mg/ml de la composición farmacéutica.

8. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 1, caracterizada porque comprende:

- 15 a) 400-600 mg de Eteplirsén;
- b) 64-96 mg de cloruro de sodio;
- c) 1.6-2.4 mg de cloruro de potasio;
- d) 1.6-2.4 mg de fosfato de potasio monobásico;
- e) 9.0-14.0 mg de fosfato de sodio dibásico; y
- 20 f) agua,

en donde la concentración de Eteplirsén es aproximadamente 50 mg/ml de la composición farmacéutica.

9. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 8, caracterizada porque comprende
25 aproximadamente 500 mg de Eteplirsén.

10. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 8, caracterizada porque comprende:

- a) aproximadamente 500 mg de Eteplirsén;
- b) aproximadamente 80 mg de cloruro de sodio;
- 5 c) aproximadamente 2 mg de cloruro de potasio;
- d) aproximadamente 2 mg de fosfato de potasio monobásico;
- e) aproximadamente 11.4 mg de fosfato de sodio dibásico; y
- 10 f) agua,

en donde la concentración de Eteplirsén es aproximadamente 50 mg/ml de la composición farmacéutica.

11. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 1, caracterizada porque comprende:

- 15 a) aproximadamente 5% p/v Eteplirsén;
- b) aproximadamente 0.8% p/v de cloruro de sodio;
- c) aproximadamente 0.02% p/v de cloruro de potasio;
- d) aproximadamente 0.02% p/v de fosfato de potasio monobásico;
- 20 e) aproximadamente 0.114% p/v de fosfato de sodio dibásico; y
- f) agua.

12. La composición farmacéutica de conformidad con la reivindicación 1, caracterizada porque comprende:

- 25 a) aproximadamente 50 mg/ml de Eteplirsén;

b) aproximadamente 8 mg/ml de cloruro de sodio;
c) aproximadamente 0.2 mg/ml de cloruro de potasio;
d) aproximadamente 0.2 mg/ml de fosfato de potasio monobásico;

5 e) aproximadamente 1.14 mg/ml de fosfato de sodio dibásico; y
f) agua.

13. La composición farmacéutica de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-12, caracterizada porque
10 el pH de la composición farmacéutica es aproximadamente 7.5, y la osmolalidad de la composición farmacéutica varía desde aproximadamente 260 mOsm y aproximadamente 320 mOsm.

14. Un método para tratar distrofia muscular de Duchenne (DMD) en un sujeto en necesidad del mismo,
15 caracterizado porque el sujeto tiene una mutación del gen de distrofina que es susceptible a la omisión del exón 51, que comprende administrar al sujeto una composición farmacéutica de cualquiera de las reivindicaciones 1-13.

15. Uso de la composición farmacéutica de conformidad
20 con cualquiera de las reivindicaciones 1-13, para la manufactura de un medicamento para el tratamiento de distrofia muscular de Duchenne (DMD) en un sujeto en necesidad del mismo, en donde el sujeto tiene una mutación del gen de distrofina que es susceptible a la omisión del exón 51.