

REIVINDICACIONES

1. Un compuesto que comprende un oligonucleótido modificado que comprende de 16 a 80 nucleósidos unidos que tiene una secuencia de bases nitrogenadas que comprende las secuencias de bases nitrogenadas de cualquiera de las SEQ ID NOs: 272, 804, 239, 569, 607, 615, 621, 640, 655, 678, 715, 790, 854, 1028, 2130, 2136, 2142, 2154, y 2158;

donde el oligonucleótido modificado comprende:

un segmento gap constituido por desoxinucleósidos unidos;

un segmento lateral 5' constituido por nucleósidos unidos;

y

un segmento lateral 3' constituido por nucleósidos unidos;

donde el segmento gap está situado entre el segmento lateral 5' y el segmento lateral 3' y donde cada nucleósido de cada segmento lateral comprende un azúcar modificado.

2. El compuesto de la reivindicación 1, donde el oligonucleótido presenta una complementariedad de al menos un 80%, 85%, 90%, 95% o 100% respecto a la SEQ ID NO: 1 o 2.

3. El compuesto de las reivindicaciones 1 o 2, donde el oligonucleótido modificado comprende al menos una unión entre nucleósidos modificada, al menos un azúcar modificado o al menos una base nitrogenada modificada.

4. El compuesto de la reivindicación 3, donde la unión entre nucleósidos modificada es una unión entre nucleósidos de tipo fosforotioato.

5. El compuesto de la reivindicación 3 o 4, donde el azúcar modificado es un azúcar bicíclico.

6. El compuesto de la reivindicación 5, donde el azúcar bicíclico se selecciona del grupo constituido por: 4'-(CH₂)-O-2' (LNA); 4'-(CH₂)₂-O-2' (ENA) y 4'-CH(CH₃)-O-2' (cEt).

7. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 3-6, donde el azúcar modificado es 2'-O-metoxietilo.

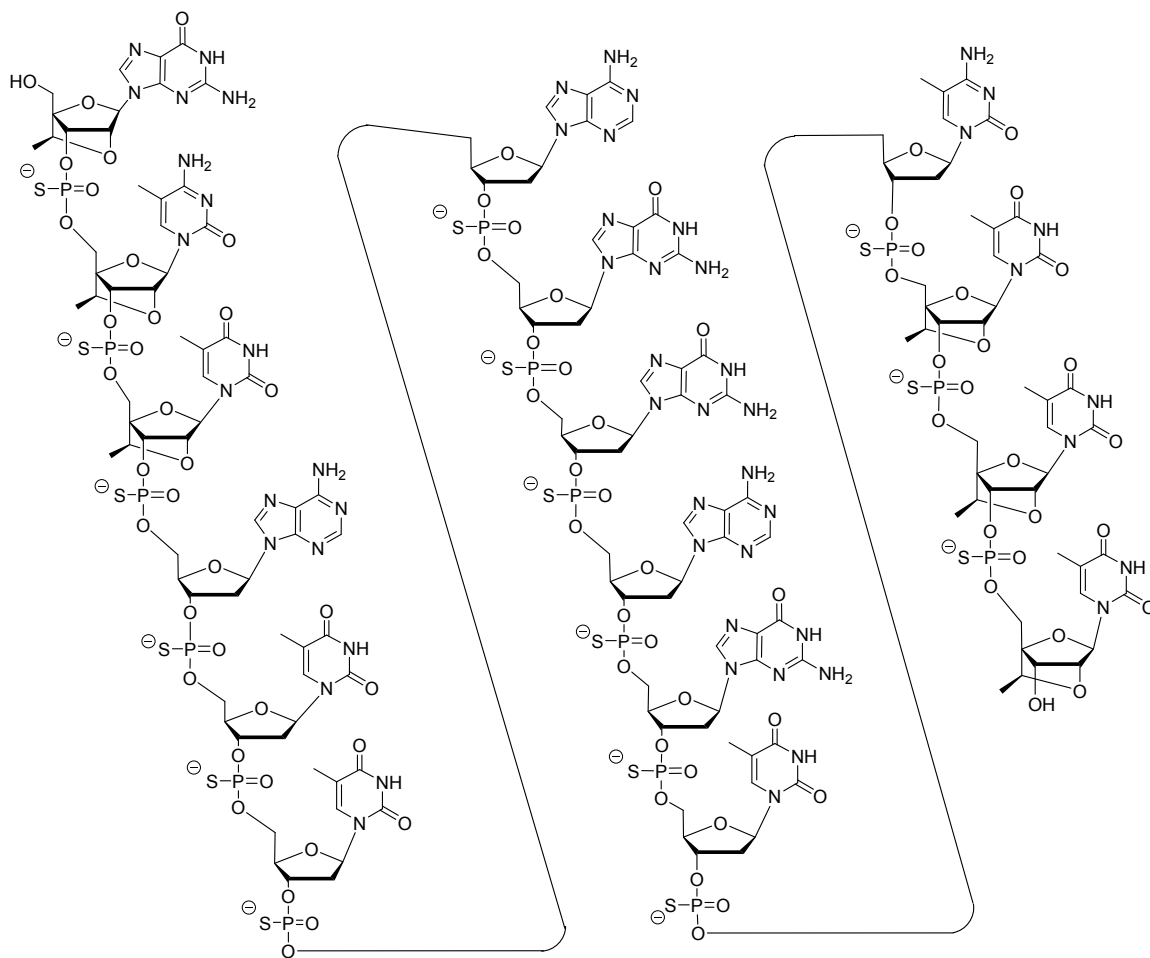
8. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 3-7, donde la base nitrogenada modificada es una 5-metilcitosina.

9. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-8, donde el compuesto es monocatenario.

10. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-9, donde el oligonucleótido modificado está constituido por de 10 a 30, de 12 a 30, de 15 a 30, de 16 a 30, o 16 nucleósidos unidos.

11. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-10, donde el compuesto comprende un conjugado y el oligonucleótido modificado.

12. Un compuesto que tiene la fórmula:



o una sal farmacéuticamente aceptable.

13. El compuesto de la reivindicación 12, donde la sal farmacéuticamente aceptable es una sal de sodio.

14. Una composición que comprende el compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-13 y un portador farmacéuticamente aceptable.