

REIVINDICACIONES

1. Un vector AAV recombinante, caracterizado porque comprende una secuencia de polinucleótido que codifica β -sarcoglicano, en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β -sarcoglicano comprende una secuencia de nucleótidos que es al menos 95% idéntica a la SEQ ID NO: 1.

2. Un vector AAV recombinante caracterizado porque comprende una secuencia de polinucleótido que codifica β -sarcoglicano que es al menos 95% idéntica a la SEQ ID NO: 2.

3. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 1, caracterizado porque la secuencia de polinucleótido que codifica β -sarcoglicano comprende la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 1.

4. El vector de AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 2, caracterizado porque la secuencia de polinucleótido codifica β -sarcoglicano de la SEQ ID NO: 2.

5. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-4, caracterizado porque el vector es del serotipo AAV1, AAV2, AAV4, AAV5, AAV6, AAV7, AAV8, AAV9, AAV10, AAV11, AAV12, AAV13 o AAV rh.74.

6. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-5, caracterizado porque

la secuencia de polinucleótido se liga operablemente a un elemento de control de músculo específico.

7. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 6, caracterizado porque el elemento de control de músculo específico es elemento del gen actina esquelético humano, elemento del gen actina cardiaco, factor mef potenciador de enlace específico de miocito, creatina cinasa muscular (MCK), MCK truncado (tMCK), cadena pesada de miosina (MHC), MHCK7, C5-12, elemento potenciador de creatina cinasa murina, elemento del gen c de troponina de contracción rápida esquelético, elemento del gen c de troponina cardiaco de contracción lenta, el elemento del gen i de troponina de contracción lenta, factores nucleares inducibles por hipoxia, elemento inducible por esteroide o elemento de respuesta al glucocorticoide (gre).

8. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 6, caracterizado porque el elemento de control de músculo específico es el promotor MCK truncado (tMCK).

9. El vector de AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 8, caracterizado porque el promotor MCK truncado (tMCK) comprende la secuencia de nucleótidos expuesta en la SEQ ID NO: 6.

10. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 6, caracterizado porque el elemento de control de músculo específico es el promotor MHCK7.

11. El vector de AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 10, caracterizado porque el promotor MHCK7 comprende la secuencia de nucleótidos expuesta en la SEQ ID NO: 4.

12. El vector de AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-7, caracterizado porque comprende una secuencia de nucleótidos que es al menos el 95% idéntico a la SEQ ID NO: 3.

13. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-7, caracterizado porque comprende la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 3.

14. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-7, caracterizado porque comprende la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 5.

15. Una composición, caracterizada porque comprende el vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-14.

16. Una composición que comprende el vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-14, caracterizada porque es para uso en la reducción de la fibrosis en un sujeto mamífero que necesita de la misma.

17. La composición de conformidad con la reivindicación 16, caracterizada porque el sujeto padece de distrofia muscular.

18. Una composición que comprende el vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-14, caracterizada porque es para uso en el tratamiento de una β -sarcoglicanopatía en un sujeto mamífero que necesita de la misma.

19. La composición de conformidad con la reivindicación 16, caracterizada porque el sujeto padece de distrofia muscular.

20. Una composición que comprende el vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-14, caracterizada porque es para uso en el incremento de la fuerza muscular en un sujeto mamífero que padece de distrofia muscular.

21. Una composición que comprende el vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las

reivindicaciones 1-14, caracterizada porque es para uso en el tratamiento de la distrofia muscular.

22. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 15 o 19-21, caracterizada porque la distrofia muscular es distrofia muscular de la cintura y extremidades.

23. La composición de conformidad con una cualquiera de las reivindicaciones 15 o 19-21, caracterizadas porque la distrofia muscular es distrofia muscular de la cintura y extremidades tipo 2E (LGMD2E).

24. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 15-23, caracterizada además porque comprende un segundo vector AAV recombinante que comprende la secuencia de nucleótidos miR-29.

25. La composición de conformidad con la reivindicación 24, caracterizada porque el segundo rAAV comprende la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 9 o la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 8.

26. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 15-25, caracterizada porque está formulada para inyección intramuscular o inyección intravenosa.

27. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 15-25, caracterizada porque es una formulación para administración sistémica.

28. La composición de conformidad con la reivindicación 27, caracterizada porque la administración sistémica es administración parenteral por inyección, infusión o implante.