

REIVINDICACIONES

1. Un compuesto que comprende un oligonucleótido modificado que consiste de 16 a 30 nucleósidos unidos que tiene una secuencia de bases nitrogenadas que comprende las secuencias de bases nitrogenadas de cualquiera de las SEQ ID NOs: 804, 621, 678, 854, 715, 2158, 615, 640, 239, 569, 607, 655, 790, y 272;

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 compuesto comprende un oligonucleótido modificado que consiste de 16 nucleósidos unidos que tiene una secuencia de bases nitrogenadas que consiste de las secuencias de bases nitrogenadas de cualquiera de las SEQ ID NOs: 804, 621, 678, 854, 715, 2158, 615, 640, 239, 569, 607, 655, 790, y 272.

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

4. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde el oligonucleótido modificado comprende una unión entre nucleósidos modificada, o una base nitrogenada modificada.

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

6. El compuesto de la reivindicación 1, donde el azúcar modificado es un azúcar bicíclico.

7. El compuesto de la reivindicación 6, 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).

8. El compuesto de la reivindicación 1, donde el azúcar modificado es 2'-O-metoxietilo.

9. El compuesto de la reivindicación 4, donde la base nitrogenada modificada es una 5-metilcitosina.

10. El compuesto de la reivindicación 1, donde el compuesto comprende un oligonucleótido modificado que consiste de 16 a 30 nucleósidos unidos que tiene una secuencia de bases nitrogenadas que comprende las secuencias de bases nitrogenadas de cualquiera de las SEQ ID NOs: 621, 678, 854, 715, 615, 640, 790, 239, 569, 607, 655, y 272, donde el oligonucleótido modificado comprende:

un segmento gap constituido por diez desoxinucleósidos unidos;

un segmento lateral 5' constituido por tres nucleósidos unidos; y

un segmento lateral 3' constituido por tres nucleósidos unidos;

donde el segmento gap está situado entre el segmento lateral 5' y el segmento lateral 3', donde cada nucleósido de cada segmento lateral comprende un nucleósido con etilo de movimiento restringido (cEt); donde cada unión entre nucleósidos es una unión de tipo fosforotioato y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

11. El compuesto de la reivindicación 1, donde el compuesto que comprende un oligonucleótido modificado que consiste de 16 a 30 nucleósidos unidos que tiene una secuencia de bases nitrogenadas que comprende la secuencia de bases nitrogenadas de la SEQ ID NO: 804, donde el oligonucleótido modificado comprende:

un segmento gap constituido por diez desoxinucleósidos unidos;

un segmento lateral 5' constituido por dos nucleósidos unidos; y

un segmento lateral 3' constituido por cuatro nucleósidos unidos;

donde el segmento gap está situado entre el segmento lateral 5' y el segmento lateral 3'; donde el segmento lateral 5' comprende un nucleósido cEt y un nucleósido cEt en la dirección de 5' a 3'; donde el segmento lateral 3' comprende un nucleósido cEt, un nucleósido 2'-O-metoxietilo, un nucleósido cEt y un nucleósido 2'-O-metoxietilo en la dirección de 5' a 3'; donde cada unión entre nucleósidos es una unión de tipo fosforotioato; y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

12. El compuesto de la reivindicación 1, donde el compuesto comprende un oligonucleótido modificado que consiste de 16 a 30 nucleósidos unidos que tiene una secuencia de bases nitrogenadas que comprende la secuencia de bases

nitrogenadas de la SEQ ID NO: 2158, donde el oligonucleótido modificado comprende:

un segmento gap constituido por ocho desoxinucleósidos unidos;

un segmento lateral 5' constituido por tres nucleósidos unidos; y

un segmento lateral 3' constituido por cinco nucleósidos unidos;

donde el segmento gap está situado entre el segmento lateral 5' y el segmento lateral 3'; donde el segmento lateral 5' comprende un nucleósido cEt y un nucleósido cEt en la dirección de 5' a 3'; donde el segmento lateral 3' comprende un nucleósido cEt, un desoxinucleósido, un nucleósido cEt, un desoxinucleósido, y un nucleósido cEt en la dirección de 5' a 3'; donde cada unión entre nucleósidos es una unión de tipo fosforotioato; y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

13. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-12, donde el compuesto es monocatenario.

14. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-13, donde el compuesto es bicatenario.

15. El compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-14, donde el compuesto consiste del oligonucleótido modificado.

16. El compuesto de la reivindicación 10, donde el oligonucleótido modificado consiste de 16 nucleósidos unidos y tiene una secuencia de bases nitrogenadas que consiste de las secuencias de bases nitrogenadas de cualquiera de las SEQ ID NOs: 621, 678, 854, 715, 615, 640, 790, 239, 569, 607, 655, o 272.

17. El compuesto de la reivindicación 11, donde el oligonucleótido modificado consiste de 16 nucleósidos unidos y tiene una secuencia de bases nitrogenadas que consiste de la secuencia de bases nitrogenadas de la SEQ ID NO: 804.

18. El compuesto de la reivindicación 12, donde el oligonucleótido modificado consiste de 16 nucleósidos unidos y tiene una secuencia de bases nitrogenadas que consiste de la secuencia de bases nitrogenadas de la SEQ ID NO: 2158.

19. Un compuesto que consiste de una sal farmacéuticamente aceptable de cualquiera de las reivindicaciones 1-15.

20. El compuesto de la reivindicación 19, donde la sal farmacéuticamente aceptable es una sal de sodio.

21. Una composición que comprende el compuesto de cualquiera de las reivindicaciones 1-18 y un portador farmacéuticamente aceptable.