

REIVINDICACIONES

1. Una composición que comprende un vector de AAV recombinante que comprende 1) una secuencia de ácido nucleico que codifica una proteína que exhibe actividad ANO5 unida operativamente al promotor MHCK7 en donde la secuencia de ácido nucleico comprende una secuencia de nucleótidos que es al menos 85% idéntica a la secuencia de ácido nucleico de SEQ ID NO: 1, 2) una secuencia de nucleótido que se hibrida en condiciones rigurosas con la secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO: 1, en donde las condiciones rigurosas comprenden lavado con cloruro de sodio 0,015 M, citrato de sodio 0,0015 M a 65-68°C o lavado con cloruro de sodio 0,015 M cloruro, citrato de sodio 0,0015 M y formamida al 50% a 42°C, o 3) una secuencia de nucleótido que codifica una proteína que es al menos 85% idéntica a la secuencia de amino ácidos de SEQ ID NO: 2.
2. La composición de conformidad con la reivindicación 1, caracterizada porque el AAV recombinante comprende una secuencia de polinucleótidos de SEQ ID NO: 1.
3. La composición de conformidad con las reivindicaciones 1 o 2, caracterizada porque el vector de AAV recombinante es AAV1, AAV2, AAV4, AAV5, AAV6, AAV7, AAV8, AAV9, AAV10, AAV11, AAV12, AAV13 o AAV rh.74.
4. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1, 2 o 3, caracterizada porque está formulada para inyección intramuscular o intravenosa.
5. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1, 2, 3 o 4, caracterizada porque comprende adicionalmente una composición antioxidante.
6. La composición de conformidad con la reivindicación 5, caracterizada porque la composición antioxidante comprende al menos uno de la coenzima Q10, ácido lipoico, vitamina, carotenoide, cofactor de la vitamina, mineral, polifenol o flavonoide.

7. La composición de conformidad con la reivindicación 5 o 6, caracterizada porque la composición antioxidante comprende la coenzima Q10, ácido lipoico y vitamina E.
- 5 8. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-7, caracterizada porque los agentes están en la misma composición.
9. La composición de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-8, caracterizada porque los agentes están en composiciones separadas.
- 10 10. Una composición para tratar a un paciente LGMD2L, la composición comprende un vector de AAV recombinante que comprende una secuencia de ácido nucleico que codifica una proteína ANO5 que es al menos 95% idéntica a la SEQ ID NO: 2.
- 15 11. La composición de la reivindicación 10, caracterizada porque la proteína ANO5 tiene una secuencia de SEQ ID NO: 2.