P-2018/16212
Reivindicaciones Modificadas
19 de Octubre de 2020

REIVINDICACIONES

1. Un vector AAV rh74 recombinante que comprende en la dirección 5 'a 3' una repetición terminal invertida (ITR), un elemento de control específico del músculo, una secuencia de intrón quimérico, la secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO: 7, una cola poli A y una ITR.

2. El vector AAVrh74 recombinante de la reivindicación 1, en el que el elemento de control específico del músculo comprende la secuencia de nucleótidos de SEQ ID NO: 10 o SEQ ID NO: 11

3. El vector AAV rh74 recombinante de conformidad con la reivindicación 1 o 2, que comprende además una secuencia de intrón quimérico entre dicha secuencia de nucleótidos y dicho elemento de control específico del músculo, en el que la secuencia de intrón quimérico se establece como nucleótidos 844-993 de SEQ ID NO: 9.

4. El vector AAVrh74 recombinante de la reivindicación 1 que además comprende una cola poli A 3 'de dicha secuencia de nucleótidos, en el que la secuencia de dicha cola poli A se establece como los nucleótidos 4585 a 4640 de SEQ ID NO: 9

5. Una composición, caracterizada porque comprende el vector AAVrh74recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-4 y un vehículo farmacéuticamente aceptable.

6. Un método para producir una proteína micro-distrofina funcional, caracterizado porque comprende infectar una célula hospedera con un vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-4 y expresar una proteína micro-distrofina funcional en la célula hospedera.