

REIVINDICACIONES MODIFICADAS

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 de SEQ ID NO: 1 y en donde la secuencia de polinucleótido que codifica β -sarcoglicano se liga operablemente a un elemento de control de músculo específico y el polinucleótido.

2. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 1, caracterizado porque el β -sarcoglicano comprende la secuencia de aminoácidos de SEQ ID NO: 2.

3. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 1 o 2, caracterizado porque la secuencia de polinucleótido que codifica β -sarcoglicano comprende la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 1.

4. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-3, caracterizado porque el vector es del serotipo AAV1, AAV2, AAV4, AAV5, AAV6, AAV7, AAV8, AAV9, AAV10, AAV11, AAV12, AAV13 o AAV rh.74.

5. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-4, caracterizado porque la secuencia de polinucleótido se liga operablemente a un elemento de control de músculo específico.

6. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 5, 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).

7. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 5, caracterizado porque el elemento de control de músculo específico es el promotor MCK truncado (tMCK).

8. El vector de AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 7, caracterizado porque el promotor MCK truncado (tMCK) comprende la secuencia de nucleótidos expuesta en la SEQ ID NO: 6.

9. El vector AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 5, caracterizado porque el elemento de control de músculo específico es el promotor MHCK7.

10. El vector de AAV recombinante de conformidad con la reivindicación 9, caracterizado porque el promotor MHCK7 comprende la secuencia de nucleótidos expuesta en la SEQ ID NO: 4.

11. El vector de AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-6, caracterizado porque comprende una secuencia de nucleótidos que es al menos el 95% idéntico a la SEQ ID NO: 3.

12. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-6, caracterizado porque comprende la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 3.

13. El vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-6, caracterizado porque comprende la secuencia de nucleótidos establecida en SEQ ID NO: 5.

14. Una composición, caracterizada porque comprende el vector AAV recombinante de conformidad con cualquiera de las reivindicaciones 1-13.

15. La composición de conformidad con la reivindicación 14, caracterizada además porque comprende un segundo vector AAV recombinante que comprende la secuencia de nucleótidos miR-29.

16. La composición de conformidad con la reivindicación 15, 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.