

RESUMEN

En la presente se describen ácidos nucleicos, casetes de transferencia de AAV y plásmidos utilizados en la producción de vectores virales adenoasociados recombinantes (rAAV). Los ácidos nucleicos, casetes y plásmidos descritos comprenden secuencias que expresan uno o más transgenes que tienen eficacia terapéutica para mejorar, tratar y/o prevenir una o más enfermedades o trastornos.