

REIVINDICACIONES

1. Un método de tratamiento de la deficiencia de alfa-1 antitripsina (AATD) en un sujeto humano que lo necesite, el método comprende administrar al paciente una composición farmacéutica que comprende la sustancia farmacológica de iARN de AAT descrita en la Tabla 2 en una dosis de entre alrededor de 5 mg y alrededor de 300 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT, donde la composición farmacéutica se administra una vez al mes mediante inyección subcutánea.
2. Un método de tratamiento de la deficiencia de alfa-1 antitripsina (AATD) en un sujeto humano que lo necesite, el método comprende administrar al paciente una composición farmacéutica que comprende la sustancia farmacológica de iARN de AAT descrita en la Tabla 2 en una dosis de entre alrededor de 5 mg y alrededor de 300 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT, donde la composición farmacéutica se administra una vez cada tres meses mediante inyección subcutánea.
3. Un método de tratamiento de la deficiencia de alfa-1 antitripsina (AATD) en un sujeto humano que lo necesite, el método comprende:
 - a. administrar al sujeto mediante administración subcutánea una dosis inicial de una composición farmacéutica que comprende la sustancia farmacológica de iARN de AAT descrita en la Tabla 2 a una dosis de entre alrededor de 5 mg y alrededor de 300 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT,
 - b. administrar al sujeto una segunda dosis de la composición farmacéutica alrededor de un mes después de la dosis inicial, y
 - c. administrar al sujeto una tercera dosis de la composición farmacéutica alrededor de tres meses después de la dosis inicial.
4. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica de iARN de AAT es de entre alrededor de 25 mg y alrededor de 300 mg.
5. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica de iARN de AAT es de entre alrededor de 25 mg y alrededor de 200 mg.
6. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica de iARN de AAT es de entre alrededor de 100 mg y alrededor de 200 mg.
7. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica de iARN de AAT es de alrededor de 25 mg.
8. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica de iARN de AAT es de alrededor de 35 mg.
9. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica

de iARN de AAT es de alrededor de 100 mg.

10. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica de iARN de AAT es de alrededor de 200 mg.
11. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde la dosis de la sustancia farmacológica de iARN de AAT es de alrededor de 200 mg o menos.
12. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-11, donde la afección o enfermedad provocada por la AATD es una enfermedad hepática.
13. El método de la reivindicación 12, donde la enfermedad hepática es la hepatitis crónica, la cirrosis, el aumento del riesgo de carcinoma hepatocelular, la transaminitis, la colestasis, la fibrosis o la insuficiencia hepática fulminante.
14. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-13, donde el sujeto recibe además la administración de un producto terapéutico adicional para el tratamiento de la AATD.
15. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-14, donde el sujeto recibe además la administración de un producto terapéutico para el tratamiento del daño pulmonar, enfisema u otras enfermedades o trastornos pulmonares provocados por la deficiencia de proteína AAT secretada de manera endógena.
16. El método de la reivindicación 15, donde el producto terapéutico adicional comprende proteína AAT humana, inhibidor de la alfa-1 proteinasa humana purificada o proteína AAT recombinante.
17. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-16, donde la composición farmacéutica se envasa en un kit, un recipiente, un envase, un dispensador, una jeringa precargada o viales.
18. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-17, donde la composición farmacéutica comprende, consiste en o consiste esencialmente en la sustancia farmacológica de iARN de AAT formulada descrita en la Tabla 3.
19. El método de la reivindicación 3, que comprende además administrar dosis adicionales después de la tercera dosis, donde las dosis adicionales se administran con un intervalo intermedio de alrededor de tres meses.
20. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-19, donde la administración de una o más dosis de la composición farmacéutica es realizada por el sujeto.
21. El método de cualquiera de las reivindicaciones 1-19, donde la administración de una o más dosis de la composición farmacéutica es realizada por un profesional médico.
22. El uso de la sustancia farmacológica de iARN de AAT descrita en la Tabla 2 para el tratamiento de la deficiencia de alfa-1 antitripsina (AATD) en un sujeto humano que lo necesite, donde el uso comprende administrar al paciente una composición farmacéutica que comprende la sustancia farmacológica de iARN de AAT descrita en la Tabla 2 en una dosis de entre alrededor de 5 mg y

alrededor de 300 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT, donde la composición farmacéutica se administra una vez al mes mediante inyección subcutánea.

23. El uso de la sustancia farmacológica de iARN de AAT descrita en la Tabla 2 para el tratamiento de la deficiencia de alfa-1 antitripsina (AATD) en un sujeto humano que lo necesite, donde el uso comprende administrar al paciente una composición farmacéutica que comprende la sustancia farmacológica de iARN de AAT descrita en la Tabla 2 en una dosis de entre alrededor de 5 mg y alrededor de 300 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT, donde la composición farmacéutica se administra una vez cada tres meses mediante inyección subcutánea.