

RESUMEN

La presente invención se refiere a moléculas de ácido nucleico activador pequeño y a los usos de las mismas para el tratamiento de enfermedades y afecciones, como la trombocitopenia, relacionadas con la deficiencia o insuficiencia de la proteína THPO. Según se describe en la presente, las moléculas de ácido nucleico activador pequeño pueden ser moléculas de ARN bicatenarias o monocatenarias que se dirigen a la región promotora del gen *Thpo/THPO* mediante un mecanismo de activación del ARN y comprenden una primera cadena de ácido nucleico y una segunda cadena de ácido nucleico. La molécula de ARN bicatenaria que se dirige a la región promotora del gen *Thpo/THPO* comprende dos cadenas de ácido nucleico de 16 a 35 nucleótidos de longitud, en las que una de las cadenas de ácido nucleico presenta por lo menos un 75 % de homología o complementariedad con una diana seleccionada de la región promotora del gen *Thpo/THPO*. La presente invención también se refiere a las composiciones y formulaciones farmacéuticas que comprenden las moléculas de ácido nucleico activador pequeño y a los métodos para regular al alza la expresión del gen *Thpo/THPO* en una célula y tratar enfermedades y afecciones, relacionadas con la deficiencia o insuficiencia de la proteína THPO, mediante la administración de moléculas de ácido nucleico activador pequeño, composiciones farmacéuticas y formulaciones de las mismas.