

CAPÍTULO REIVINDICATORIO MODIFICADO

(Modificaciones Voluntarias)

1. Una secuencia de ácido ribonucleico de guía única (sgARN) que comprende una repetición truncada: región anti-repetición, en donde dicha secuencia de sgRNA es una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme1Cas9 o una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme2Cas9.
2. La secuencia de sgARN de la Reivindicación 1, que comprende además una región del vástago 2 truncada.
3. La secuencia sgARN de la Reivindicación 2, que comprende además una región espaciadora truncada.
4. La secuencia de sgARN de la Reivindicación 1, en donde dicha longitud de secuencia de sgARN se selecciona del grupo que consiste en 121 nucleótidos, 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 102 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.
5. Una secuencia de ácido ribonucleico de guía única (sgRNA) que comprende una región de del vástago 2 truncada, en donde dicha secuencia de sgRNA es una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme1Cas9 o una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme2Cas9.
6. La secuencia de sgARN de la Reivindicación 5, en donde dicha longitud de secuencia de sgARN se selecciona del grupo que consiste en 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 102 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.
7. Un plásmido vírico adenoasociado (AAV) que comprende un vector de ácido nucleico de ácido ribonucleico-*Neisseria meningitidis* Cas9 de guía única.
8. El plásmido AAV de la Reivindicación 7, en donde dicho vector de ácido nucleico de ácido ribonucleico - *Neisseria meningitidis* Cas9 de una sola guía comprende al menos un promotor.
9. El plásmido AAV de la Reivindicación 8, en donde dicho al menos un promotor se selecciona del grupo que consiste en un promotor U6 y un promotor U1a.

10. El plásmido AAV de la Reivindicación 7, en donde dicho vector de ácido nucleico de ácido ribonucleico - *Neisseria meningitidis* Cas9 de una sola guía comprende una secuencia Kozak.
11. 14. El plásmido AAV de la Reivindicación 7, en donde que dicho sgARN comprende una secuencia de ácido nucleico que es complementaria a una secuencia del gen de interés.
12. El plásmido AAV de la Reivindicación 11, en donde dicha secuencia del gen de interés se selecciona del grupo que consiste en una secuencia *PCSK9* y una secuencia *ROSA26*.
13. El plásmido AAV de la Reivindicación 7, en donde dicho sgARN comprende una repetición truncada - secuencia anti-repetición.
14. El plásmido AAV de la Reivindicación 13, en donde que dicho sgARN comprende además una región del vástago 2 truncada.
15. El plásmido AAV de la Reivindicación 14, en donde dicho sgARN comprende además una región espaciadora truncada.
16. El plásmido AAV de la Reivindicación 14, en donde dicha secuencia de sgARN tiene una longitud seleccionada del grupo que consiste en 121 nucleótidos, 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 102 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.
17. El plásmido AAV de la Reivindicación 7, en donde dicho sgARN comprende una región del vástago 2 truncada.
18. El plásmido AAV de la Reivindicación 17, en donde dicha secuencia de sgARN tiene una longitud seleccionada del grupo que consiste en 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 102 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.

ANEXO EXPLICATIVO DE LAS MODIFICACIONES

- se eliminan las Reivindicaciones 4, 6, 7, 9, 10, 12, 22, 24, 26, 27 y 29 a 57;
- se modifica la Reivindicación 1 introduciendo la expresión “*en donde dicha secuencia de sgRNA es una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme1Cas9 o una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme2Cas9*” para incorporar la materia reclamada en la antigua Reivindicación 7;
- se modifica la nueva Reivindicación 4, que corresponde a la antigua Reivindicación 5, introduciendo las expresiones “*121 nucleótidos*” y “*100 nucleótidos*” para incorporar la materia reclamada en las antiguas Reivindicaciones 4 y 6;
- se modifica la nueva Reivindicación 5, que corresponde a la antigua Reivindicación 8, introduciendo la expresión “*en donde dicha secuencia de sgRNA es una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme1Cas9 o una secuencia de ácido ribonucleico de guía única Nme2Cas9*” para incorporar la materia reclamada en la antigua Reivindicación 7;
- se modifica la nueva Reivindicación 6, que corresponde a la antigua Reivindicación 11, introduciendo la expresión “*100 nucleótidos*” para incorporar la materia reclamada en la antigua Reivindicación 12;
- se modifica la nueva Reivindicación 16, que corresponde a la antigua Reivindicación 23, introduciendo las expresiones “*121 nucleótidos*” y “*100 nucleótidos*” para incorporar la materia reclamada en las antiguas Reivindicaciones 22 y 24;
- se modifica la nueva Reivindicación 18, que corresponde a la antigua Reivindicación 28, introduciendo la expresión “*100 nucleótidos*” para incorporar la materia reclamada en la antigua Reivindicación 29;
- las nuevas Reivindicaciones 7 a 15 y 17 corresponden a las antiguas Reivindicaciones 13 a 21 y 25;