

REIVINDICACIONES

1. Una secuencia de polinucleótidos aislada que se selecciona del grupo que consiste en la SEQ ID NO: 3, la SEQ ID NO: 5 y la SEQ ID NO: 7, donde dicha
5 secuencia codifica una galactosamina (N-acetil)-6-sulfatasa humana funcional.
2. Un vector de expresión que comprende una secuencia de polinucleótidos según la reivindicación 1.
- 10 3. El vector de expresión según la reivindicación 2, donde dicho vector comprende una secuencia de un promotor operativamente unida a dicha secuencia de polinucleótidos siendo dicho promotor seleccionado de un promotor CAG, promotor hAAT o promotor de CMV.
- 15 4. El vector de expresión según la reivindicación 3, donde dicho promotor es un promotor CAG.
5. El vector de expresión según una cualquiera de las reivindicaciones 2 a 4, donde dicho vector es un vector AAV recombinante.
20
6. El vector de expresión según la reivindicación 5, donde dicho vector AAV recombinante se selecciona de AAV2, AAV5, AAV7, AAV8, AAV9, AAV10 y AAVrh10.
- 25 7. El vector según una cualquiera de las reivindicaciones 2 a 4 donde dicho vector se selecciona del grupo que consiste en el plásmido pAAV-CAG-ohGALNS-versión1, con número de acceso DSM 32792, tal como se expone en la SEQ ID NO: 4, el plásmido pAAV-CAG-ohGALNS-versión2 con número de acceso DSM 32793, tal como se expone en la SEQ ID NO: 6 y el plásmido pAAV-
30 CAG-ohGALNS-versión3 con número de acceso DSM 32794, tal como se expone en la SEQ ID NO: 8.
8. Una composición farmacéutica que comprende el polinucleótido según la reivindicación 1 o el vector según una cualquiera de las reivindicaciones 2 a 7 y
35 un vehículo farmacéuticamente aceptable.

9. La composición farmacéutica según la reivindicación 8 caracterizada por que está formulada como una formulación inyectable.
10. Un método para obtener el vector según las reivindicaciones 5 o 6 que comprende las etapas de:
- (i) proporcionar una célula que comprende un polinucleótido según la reivindicación 1, proteínas cap de AAV, proteínas rep de AAV,
 - (ii) mantener la célula bajo condiciones adecuadas para el ensamblaje del AAV; y
 - (iii) purificar el vector viral adenoasociado producido por la célula.