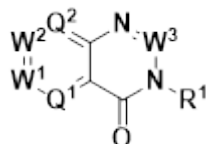


CAPÍTULO REIVINDICATORIO MODIFICADO
(Primer Examen de Fondo)

1. Un compuesto representado por la fórmula (I) o una sal de este:



(I)

en donde:

W³ es C-R², W¹ es C-R³, W² es C-R^c y R¹ es un átomo de hidrógeno.

R² es pirazolo[1,5- α]pirazinilo no sustituido o sustituido con uno a tres grupos R⁴;

R³ es un heterociclo alifático seleccionado del grupo que consiste en azetidino, pirrolidino, piperidino, piperazino, morfolino, azepano, 1,4-diazepano, 1,4-oxazepano, octahidropirrol[3,4-*b*]pirrolilo, octahidropirrol[3,4-*c*]pirrolilo, octahidropirrol[3,2-*b*]pirrolilo, octahidro-1*H*-pirrol[3,2-*b*]piridinilo, octahidro-5*H*-pirrol[3,2-*c*]piridinilo, octahidro-1*H*-pirrol[2,3-*c*]piridinilo, octahidro-6*H*-pirrol[3,4-*b*]piridinilo, octahidro-1*H*-pirrol[3,4-*c*]piridinilo, octahidro-1*H*-ciclopentapirazina, octahidro-1*H*-pirrol[1,2-*a*]pirazinilo, decahidro-2,6-naftiridinilo, decahidro-2,7-naftiridinilo, decahidro-1,6-naftiridinilo, decahidro-1,7-naftiridinilo, decahidro-quinoxalinilo, octahidro-2*H*-pirido[1,2-*a*]pirazinilo, 3-azabicyclo[3.1.0]hexilo, 1-azabicyclo[2.2.1]heptilo, 2-azabicyclo[2.2.1]heptilo, 7-azabicyclo[2.2.1]heptilo, 1-azabicyclo[2.2.2]octilo, 2-azabicyclo[2.2.2]octilo, 1-azabicyclo[3.2.1]octilo, 2-azabicyclo[3.2.1]octilo, 3-azabicyclo[3.2.1]octilo, 6-azabicyclo[3.2.1]octilo, 8-azabicyclo[3.2.1]octilo, 1-azabicyclo[3.2.2]nonilo, 2-azabicyclo[3.2.2]nonilo, 3-azabicyclo[3.2.2]nonilo, 6-azabicyclo[3.2.2]nonilo, 1-azabicyclo[3.3.1]nonilo, 2-azabicyclo[3.3.1]nonilo, 3-azabicyclo[3.3.1]nonilo, 9-azabicyclo[3.3.1]nonilo, 2,5-diazabicyclo[2.2.1]heptilo, 1,4-diazabicyclo[2.2.2]octilo, 2,5-diazabicyclo[2.2.2]octilo, 1,4-diazabicyclo[3.2.1]octilo, 2,6-diazabicyclo[3.2.1]octilo, 3,6-diazabicyclo[3.2.1]octilo, 3,8-diazabicyclo[3.2.1]octilo, 1,4-diazabicyclo[3.2.2]nonilo, 1,5-diazabicyclo[3.2.2]nonilo, 2,6-diazabicyclo[3.2.2]nonilo, 3,6-diazabicyclo[3.2.2]nonilo, 6,8-diazabicyclo[3.2.2]nonilo, 1-azaspiro[3.3]heptilo, 2-azaspiro[3.3]heptilo, 1-azaspiro[3.4]octilo, 2-azaspiro[3.4]octilo, 5-azaspiro[3.4]octilo, 6-azaspiro[3.4]octilo, 1-azaspiro[4.4]nonilo, 2-azaspiro[4.4]nonilo, 1-azaspiro[4.5]decanilo, 2-azaspiro[4.5]decanilo, 6-azaspiro[4.5]decanilo, 7-azaspiro[4.5]decanilo, 8-azaspiro[4.5]decanilo, 1,6-diazaspiro[3.3]heptilo, 2,6-diazaspiro[3.3]heptilo, 1,7-diazaspiro[4.4]nonilo, 2,7-diazaspiro[4.4]nonilo, 1,6-diazaspiro[3.5]nonilo, 1,7-diazaspiro[3.5]nonilo, 2,5-diazaspiro[3.5]nonilo, 2,6-diazaspiro[3.5]nonilo, 2,7-diazaspiro[3.5]nonilo, 5,8-diazaspiro[3.5]nonilo, 1,7-diazaspiro[4.5]decilo, 1,8-diazaspiro[4.5]decilo, 2,6-diazaspiro[4.5]decilo, 2,7-diazaspiro[4.5]decilo, 2,8-diazaspiro[4.5]decilo y 6,9-diazaspiro[4.5]decilo, donde el heterociclo alifático no está

sustituido o se sustituye con uno a tres grupos R^5 y no contiene o contiene de uno a tres enlaces dobles, donde el heterociclo alifático no contiene o contiene de uno a tres grupos carbonilo, donde cada uno de los grupos carbonilo tiene un átomo de carbono en un anillo del heterociclo alifático;

R^4 y R^5 se seleccionan del grupo que consiste en:

- (I) halógeno;
- (II) un grupo ciano;
- (III) un grupo nitro;
- (IV) un grupo hidroxilo no sustituido o sustituido con un grupo alquilo C_{1-6} o cicloalquilo C_{1-10} no sustituido o sustituido con uno a cinco sustituyentes seleccionados del grupo que consiste en:
 - (a) halógeno;
 - (b) un grupo ciano;
 - (c) un grupo nitro;
 - (d) un grupo alcoxi C_{1-6} ;
 - (e) un grupo alquilamino C_{1-6} ; y
 - (f) un grupo alquilo C_{1-6} (alquilo C_{1-6})amino;
- (V) un grupo amino no sustituido o sustituido con un grupo alquilo C_{1-6} o cicloalquilo C_{1-10} no sustituido o sustituido con uno a cinco sustituyentes seleccionados del grupo que consiste en:
 - (a) halógeno;
 - (b) un grupo ciano;
 - (c) un grupo nitro;
 - (d) un grupo alcoxi C_{1-6} ;
 - (e) un grupo alquilamino C_{1-6} ; y
 - (f) un grupo alquilo C_{1-6} (alquilo C_{1-6})amino; y
- (VI) un grupo alquilo C_{1-6} o cicloalquilo C_{1-10} no sustituido o sustituido con uno a cinco sustituyentes seleccionados del grupo que consiste en:
 - (a) halógeno;
 - (b) un grupo ciano;
 - (c) un grupo nitro;
 - (d) un grupo alcoxi C_{1-6} ;
 - (e) un grupo alquilamino C_{1-6} ; y
 - (f) un grupo alquilo C_{1-6} (alquilo C_{1-6})amino.

Q^1 se selecciona de $C-R^a$ y N;

Q^2 se selecciona de $C-R^b$ y N; y

R^a , R^b , y R^c se seleccionan cada uno independientemente del grupo que consiste en un átomo de hidrógeno, halógeno, alquilo C_{1-8} , alcoxi C_{1-8} y un grupo ciano.

2. El compuesto o una sal de este de acuerdo con la reivindicación 1, en donde Q^1 es $C-R^a$ y Q^2 es $C-R^b$.

3. El compuesto o una sal de este de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto es (S)-6-(2,4-dimetilpiperazin-1-il)-2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-*a*]pirazin-2-il)quinazolin-4(3*H*)-ona.
4. El compuesto o la sal de este de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto es (S)-6-(2,4-dimetilpiperazin-1-il)-2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-*a*]pirazin-2-il)quinazolin-4(3*H*)-ona.
5. El compuesto o la sal de este de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto es 2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-*a*]pirazin-2-il)-6-(4-metilpiperazin-1-il)quinazolin-4(3*H*)-ona.
6. El compuesto o la sal de este de acuerdo con la reivindicación 1, en donde el compuesto es 6-(4-ciclopropilpiperazin-1-il)-2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-*a*]pirazin-2-il)quinazolin-4(3*H*)-ona.
7. Un medicamento que comprende, como ingrediente activo, el compuesto o una sal de este de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 6.
8. Un método para examinar *in vitro* si el compuesto o una sal de este de acuerdo con la reivindicación 1 potencia la expresión de ARNm de SMN que tiene una función normal y/o proteína SMN que tienen una función normal.
9. El método de acuerdo con la reivindicación 8, que comprende los siguientes pasos:
poner una célula en contacto con el compuesto o una sal de este, donde la célula comprende un gen *SMN* con un nucleótido en la posición 6 en el exón 7 mutado de C a T; y
examinar si un nivel de expresión de ARNm de SMN que comprende el exón 7 en la célula o proteína SMN que comprende una secuencia de aminoácidos codificada por el exón 7 es potenciado por el compuesto o una sal de este.
10. El método de acuerdo con la reivindicación 9, en donde la expresión se examina mediante el uso de PCR o transferencia Western.
11. El compuesto o una sal de este según la reivindicación 5, en donde R³ es un heterociclo alifático seleccionado del grupo que consiste en piperidinilo, piperazinilo, morfolinilo, octahidro-1*H*-pirrolo[1,2-*a*]pirazinilo y octahidro-2*H*-pirido[1,2-*a*]pirazinilo.
12. El compuesto o una sal de este según la reivindicación 11, en donde R⁴ y R⁵ se seleccionan independientemente del grupo que consiste en:
(I) halógeno;

(II) un grupo hidroxilo no sustituido o sustituido con un grupo alquilo C₁₋₆ o cicloalquilo C₃₋₁₀; y

(III) un grupo alquilo C₁₋₆ o cicloalquilo C₃₋₁₀ no sustituido o sustituido con un grupo alcoxi C₁₋₆.

13. El compuesto o una sal de este según la reivindicación 1, en donde el compuesto o sal de este es 2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-a]pirazin-2-il)-6-(piperazin-1-il)quinazolin-4(3H)-ona.

14. El compuesto o una sal de este según la reivindicación 1, en donde el compuesto o sal de este es (S)-2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-a]pirazin-2-il)-6-(hexahidropirrol[1,2-a]pirazin-2(1H)-il)quinazolin-4(3H)-ona.

15. El compuesto o una sal de este según la reivindicación 1, en donde el compuesto o sal de este es 2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-a]pirazin-2-il)-6-(4,7-diazaspiro[2,5]octan-7-il)quinazolin-4(3H)-ona.

16. El compuesto o una sal del mismo según la reivindicación 1, en donde el compuesto o sal de este es (R)-2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-a]pirazin-2-il)-6-(hexahidropirrol[1,2-a]pirazin-2(1H)-il)quinazolin-4(3H)-ona.

17. El compuesto o una sal de este según la reivindicación 1, en donde el compuesto o sal de este es 6-(3,3-dimetilpiperazin-1-il)-2-(4,6-dimetilpirazolo[1,5-a]pirazin-2-il)quinazolin-4(3H)-ona.
