

CAPÍTULO REIVINDICATORIO MODIFICADO

(Modificaciones Voluntarias)

1. Una jeringa que comprende una preparación estéril de un oligonucleótido antisentido o una sal del mismo, donde la jeringa se adapta para la administración intratecal del oligonucleótido antisentido o la sal del mismo en una dosis fija de aproximadamente 20 mg, aproximadamente 40 mg, aproximadamente 60 mg o aproximadamente 100 mg, donde la secuencia de nucleobase del oligonucleótido antisentido consiste en CAGGATACATTTCTACAGCT (SEQ ID NO:1), donde cada uno de los nucleósidos 1-5 y 16-20 son nucleósidos modificados con la 2'-O-metoxietilribosa y cada uno de los nucleósidos 6-15 son 2'-desoxinucleósidos, donde los enlaces de internucleósidos entre los nucleósidos 2 a 3, 4 a 5, 16 a 17 y 18 a 19 son enlaces de fosfodiéster y los enlaces de internucleósidos entre los nucleósidos 1 a 2, 3 a 4, 5 a 6, 6 a 7, 7 a 8, 8 a 9, 9 a 10, 10 a 11, 11 a 12, 12 a 13, 13 a 14, 14 a 15, 15 a 16, 17 a 18 y 19 a 20 son enlaces de fosforotioato y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.
2. Una jeringa que comprende una preparación estéril de un oligonucleótido antisentido o una sal del mismo, donde la jeringa se adapta para la administración intratecal del oligonucleótido antisentido o la sal del mismo a una dosis fija de aproximadamente 100 mg, donde la secuencia de nucleobase del oligonucleótido antisentido consiste en CAGGATACATTTCTACAGCT (SEQ ID NO: 1), donde cada uno de los nucleósidos 1-5 y 16-20 son nucleósidos modificados con la 2'-O-metoxietilribosa, y cada uno de los nucleósidos 6-15 son 2'-desoxinucleósidos, donde los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 2 a 3, 4 a 5, 16 a 17 y 18 a 19 son enlaces fosfodiéster y los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 1 a 2, 3 a 4, 5 a 6, 6 a 7, 7 a 8, 8 a 9, 9 a 10, 10 a 11, 11 a 12, 12 a 13, 13 a 14, 14 a 15, 15 a 16, 17 a 18 y 19 a 20 son enlaces fosforotioato, y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.
3. La jeringa de la Reivindicación 1 o 2, donde la sal es una sal de sodio o potasio.
4. Una bomba que comprende una preparación estéril de un oligonucleótido antisentido o una sal del mismo, donde la bomba se adapta para la administración intratecal del oligonucleótido antisentido o la sal del mismo a una dosis fija de aproximadamente 20 mg, aproximadamente 40 mg, aproximadamente 60 mg o aproximadamente 100 mg, donde la secuencia de nucleobases del oligonucleótido antisentido consiste en CAGGATACATTTCTACAGCT (SEQ ID NO: 1), donde cada uno de los nucleósidos 1-5 y 16-20 son nucleósidos modificados con la 2'-O-metoxietilribosa, y cada uno de los nucleósidos 6-15 son 2'-desoxinucleósidos, donde los enlaces internucleósidos entre los nucleósidos 2 a 3, 4 a 5, 16 a 17 y 18 a 19 son enlaces fosfodiéster y los enlaces internucleósidos entre los nucleósidos 1 a 2, 3 a 4, 5 a 6, 6 a 7, 7 a 8, 8 a 9, 9 a 10, 10 a 11,

11 a 12, 12 a 13, 13 a 14, 14 a 15, 15 a 16, 17 a 18 y 19 a 20 son enlaces fosforotioato , y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

5. Una bomba que comprende una preparación estéril de un oligonucleótido antisentido o una sal del mismo, donde la bomba está adaptada para la administración intratecal del oligonucleótido antisentido o la sal del mismo a una dosis fija de aproximadamente 100 mg, donde la secuencia de nucleobases del oligonucleótido antisentido consiste en CAGGATACATTTCTACAGCT (SEQ ID NO: 1), donde cada uno de los nucleósidos 1-5 y 16-20 son nucleósidos modificados con la 2'-O-metoxietilribosa, y cada uno de los nucleósidos 6-15 son 2'-desoxinucleósidos, donde los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 2 a 3, 4 a 5, 16 a 17 y 18 a 19 son enlaces fosfodiéster y los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 1 a 2, 3 a 4, 5 a 6, 6 a 7, 7 a 8, 8 a 9, 9 a 10, 10 a 11, 11 a 12, 12 a 13, 13 a 14, 14 a 15, 15 a 16, 17 a 18 y 19 a 20 son enlaces fosforotioato, y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

6. La bomba de la Reivindicación 4 o 5, donde la sal es una sal de sodio o potasio.

7. Una composición farmacéutica que comprende un vehículo farmacéuticamente aceptable y una preparación estéril de un oligonucleótido antisentido o una sal del mismo, donde la composición farmacéutica se formula para la administración intratecal del oligonucleótido antisentido a una dosis fija de aproximadamente 20 mg, aproximadamente 40 mg, aproximadamente 60 mg. , o aproximadamente 100 mg, donde la secuencia de nucleobases del oligonucleótido antisentido consiste en CAGGATACATTTCTACAGCT (SEQ ID NO: 1), donde cada uno de los nucleósidos 1-5 y 16-20 son nucleósidos modificados con la 2'-O-metoxietilribosa, y cada uno de los nucleósidos 6-15 son 2'-desoxinucleósidos, donde los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 2 a 3, 4 a 5, 16 a 17 y 18 a 19 son enlaces fosfodiéster y los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 1 a 2, 3 a 4, 5 a 6, 6 a 7, 7 a 8, 8 a 9, 9 a 10, 10 a 11, 11 a 12, 12 a 13, 13 a 14, 14 a 15, 15 a 16, 17 a 18 y 19 a 20 son enlaces fosforotioato, y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

8. Una composición farmacéutica que comprende un vehículo farmacéuticamente aceptable y una preparación estéril de un oligonucleótido antisentido o una sal del mismo, donde la composición farmacéutica se formula para la administración intratecal del oligonucleótido antisentido a una dosis fija de aproximadamente 100 mg, donde la secuencia de nucleobases del oligonucleótido antisentido consiste en CAGGATACATTTCTACAGCT (SEQ ID NO: 1), donde cada uno de los nucleósidos 1-5 y 16-20 son nucleósidos modificados con la 2'-O-metoxietilribosa, y cada uno de los nucleósidos 6-15 son 2'-desoxinucleósidos, donde los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 2 a 3, 4 a 5, 16 a 17 y 18 a 19 son enlaces fosfodiéster y los enlaces internucleosídicos entre los nucleósidos 1 a 2, 3 a 4, 5 a 6, 6 a 7, 7 a 8, 8 a 9 , 9 a 10, 10 a 11, 11 a 12, 12 a 13, 13 a 14, 14 a 15, 15 a 16, 17 a 18 y 19 a 20 son enlaces fosforotioato, y donde cada citosina es una 5-metilcitosina.

9. La composición farmacéutica de la Reivindicación 7 u 8, donde la sal es una sal de sodio o potasio.

10. La composición farmacéutica de la Reivindicación 7 u 8, donde el vehículo farmacéuticamente aceptable es una solución salina amortiguada con fosfato.

ANEXO EXPLICATIVO DE LAS MODIFICACIONES

- Se eliminaron las Reivindicaciones 1 a 19 y 21 a 41
- se eliminó el término “o bomba” de la nueva Reivindicación 1 (antigua Reivindicación 20), y se añadió el término “o una sal del mismo”
- Se introdujo la nueva Reivindicación 2, la cual tiene soporte en las páginas 19 y 38 del Capítulo Descriptivo
- Se introdujeron las nuevas Reivindicaciones 3, 6, 9 y 10, las cuales tienen soporte en la página 30 del Capítulo Descriptivo
- Se introdujeron las nuevas Reivindicación 4 y 5, las cuales tienen soporte en las páginas 19 y 38 del Capítulo Descriptivo
- Se introdujeron las nuevas Reivindicación 7 y 8, las cuales tienen soporte en las páginas 3 a 5 del Capítulo Descriptivo