

REIVINDICACIONES

1. Un vector de ácido nucleico que comprende un promotor del miembro 14 de la familia 6 de transportadores de soluto (SLC6A14) que comprende una secuencia de polinucleótidos que tiene al menos un 85 % de identidad de secuencia con la SEQ ID NO: 1.
2. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 1, en donde el promotor SLC6A14 tiene la secuencia de la SEQ ID NO: 1.
3. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 1 o 2, en donde el promotor SLC6A14 está unido operativamente a un transgén.
4. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 3, en donde el transgén es un transgén heterólogo.
5. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 3 o 4, en donde el transgén codifica una proteína, un ARN de horquilla corta (ARNhc), un oligonucleótido antisentido (ASO), una nucleasa o es un microARN.
6. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 5, en donde el transgén codifica una proteína.
7. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 6, en donde la proteína es factor de transcripción BHLH atonal 1 (Atoh1), factor de transcripción 2 tipo Spalt (Sall2), activador de transcripción 1 de unión a Calmodulina (Camta1), factor de transcripción de familia BHLH relacionado con Hes con motivo YRPW 2 (Hey2), proteína de unión a Gata 2 (Gata2), factor de transcripción de familia BHLH relacionado con Hes con motivo YRPW 1 (Hey1), ceramida sintasa 2 (Lass2), SRY caja 10 (Sox10), proteína 3 de unión a GATA (Gata3), homeobox 1 tipo Cut (Cux1), miembro del grupo F de la subfamilia 2 de receptores nucleares (Nr2f1), factor de transcripción de familia BHLH relacionado con Hes (Hes1), receptor B huérfano relacionado con RAR (Rorb), subunidad del factor de transcripción AP-1 del protooncogén Jun (Jun), proteína 667 con dedo de zinc (Zfp667), homeobox LIM 3 (Lhx3), hélice-bucle-hélice nesciente 1 (Nhlh1), proteína de dimerización MAX 4 (Mxd4), proteína 1 de tipo que contiene MIZ con dedos de zinc (Zmiz1), factor de transcripción de mielina 1 (Myt1), transductor de señal y activador de transcripción 3 (Stat3), homeobox 1 de tipo BarH (Barhl1), caja de grupo de alta movilidad asociada a la selección de timocitos (Tox), Homeobox prospero 1 (Prox1), factor nuclear I A (Nfia), receptor beta de la hormona tiroidea (Thrb), factor de transcripción BHLH del protooncogén MYCL (Mycl1), lisina demetilasa 5A (Kdm5a), proteína 3 de unión al elemento de respuesta a CAMP de tipo 4 (Creb3l4), variante 1 de ETS (Etv1), 3 paternalmente expresada (Peg3), dominio BTB y

homólogo de CNC 2 (Bach2), homeobox ISL LIM 1 (Isl1), 38 que contiene dedos de zinc y dominio BTB (Zbtb38), desarrollo de las extremidades y el corazón (Lbh), factor de transcripción bipartito Tubby (Tub), Ubiquitina C (Hmg20), factor de transcripción de silenciamiento de RE1 (Rest), proteína 827 con dedos de zinc (Zfp827), miembro 3 de la familia AF4/FMR2 (Aff3), homeobox 2 de PBX/anudada 1 (Pknx2), dominio de interacción rico en AT de 3B (Arid3b), proteína de interacción MLX (Mlxip), proteína con dedos de zinc (Zfp532), dedos de zinc 2 de la familia IKAROS (Ikzf2), factor de transcripción 1 tipo Spalt (Sall1), SIX Homeobox 2 (Six2), factor de transcripción 3 tipo Spalt (Sall3), homólogo B de Lin-28 (Lin28b), factor regulador X7 (Rfx7), factor neurotrófico derivado del cerebro (Bdnf), represor transcripcional del factor de crecimiento independiente 1 (Gfi1), POU clase 4 homeobox 3 (Pou4f3), factor de transcripción BHLH del protooncogén MYC (Myc), β -catenina (Ctnnb1), SRY-Box 2 (Sox2), SRY-Box 4 (Sox4), SRY-Box 11 (Sox11), factor de transcripción 2 del dominio TEA (Tead2) o una variante de Atoh1.

8. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 7, en donde la proteína es Atoh1.

9. El vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 3-8, en donde el vector de ácido nucleico comprende además una primera repetición terminal invertida hacia 5' del promotor SLC6A14; y hacia 3' del transgén y en orden 5' a 3', un elemento regulador postranscripcional opcional, una señal de poliadenilación y una segunda repetición terminal invertida.

10. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 9, que comprende los nucleótidos 219-3831 de la SEQ ID NO: 10, una primera repetición terminal invertida hacia 5' de los nucleótidos 219-3831 de la SEQ ID NO: 10, en donde la repetición terminal invertida hacia 5' tiene al menos 80 % de identidad de secuencia con los nucleótidos 1-130 de la SEQ ID NO: 10; y una segunda repetición terminal invertida hacia 3' de los nucleótidos 219-3831 de la SEQ ID NO: 10, en donde la repetición terminal invertida hacia 3' tiene al menos 80 % de identidad de secuencia con los nucleótidos 3919-4048 de la SEQ ID NO: 10.

11. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 9, que comprende los nucleótidos 219-3822 de la SEQ ID NO: 11, una primera repetición terminal invertida hacia 5' de los nucleótidos 219-3822 de la SEQ ID NO: 11, en donde la repetición terminal invertida hacia 5' tiene al menos 80 % de identidad de secuencia con los nucleótidos 1-130 de la SEQ ID NO: 11; y una segunda repetición terminal invertida hacia 3' de los nucleótidos 219-3822 de la SEQ ID NO: 11, en donde la repetición terminal invertida hacia 3' tiene al menos 80 % de identidad de secuencia con los nucleótidos 3910-4039 de la SEQ ID NO: 11.

12. El vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-11, en donde el

vector de ácido nucleico es un plásmido.

13. El vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-11, en donde el vector de ácido nucleico es un vector de virus adenoasociado (AAV).

14. El vector de ácido nucleico de la reivindicación 13, en donde el vector de AAV tiene una cápside de AAV8.

15. Una composición farmacéutica que comprende el vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-14 y un portador, diluyente o excipiente farmacéuticamente aceptable.

16. Un método para expresar un transgén en una célula de soporte vestibular (VSC) de mamífero, que comprende poner en contacto la VSC de mamífero con el vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-14 o la composición de la reivindicación 15.

17. El método de la reivindicación 16, en donde la VSC de mamífero es una VSC humana.

18. Un método para tratar a un sujeto que tiene o se encuentra en riesgo de desarrollar disfunción vestibular, que comprende administrar al oído interno del sujeto una cantidad eficaz del vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-14 o la composición de la reivindicación 15.

19. Un método para inducir o aumentar la regeneración de células ciliadas vestibulares en un sujeto que lo necesite, que comprende administrar al oído interno del sujeto una cantidad eficaz del vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-14 o la composición de la reivindicación 15.

20. Un método para tratar a un sujeto que tiene o se encuentra en riesgo de desarrollar vestibulopatía bilateral, el método comprende administrar al oído interno del sujeto una cantidad eficaz del vector de ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-14 o la composición de la reivindicación 15.