

REIVINDICACIONES

1. Un compuesto que contiene una enzima terapéutica y un elemento de transporte que están acoplados entre sí directamente o mediante un conector,
5 en donde dicho elemento de transporte es un fragmento Fab de inmunoglobulina IgG específica para un epítipo del receptor de insulina.
2. El compuesto de la reivindicación 1, que contiene la enzima terapéutica y el elemento de transporte que están acoplados entre sí directamente o
10 mediante un conector, en donde dicho elemento de transporte es un fragmento Fab de inmunoglobulina IgG específica para un epítipo del receptor de insulina y es capaz de transportar dicha enzima terapéutica a través de una barrera hematoencefálica.
- 15 3. El compuesto de la reivindicación 2, en donde el epítipo del receptor de insulina está representado por la secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 1.
4. El compuesto de la reivindicación 3, en donde la enzima terapéutica y el elemento de transporte están acoplados mediante un conector.
20
5. El compuesto de la reivindicación 4, en donde dicho conector es un conector peptídico que contiene uno o más aminoácidos.
6. El compuesto de la reivindicación 5, en donde dicho conector es un
25 conector peptídico que contiene uno o más aminoácidos seleccionados de

glicina, serina y leucina

7. El compuesto de la reivindicación 1, en donde el elemento de transporte contiene una secuencia de aminoácidos de un fragmento Fab de
5 inmunoglobulina IgG, en donde la inmunoglobulina IgG es IgG1, IgG2 o IgG4.

8. El compuesto de la reivindicación 1, en donde el elemento de transporte contiene una secuencia de aminoácidos de un fragmento Fab de inmunoglobulina IgG, en donde la inmunoglobulina IgG es IgG1.
10

9. El compuesto de la reivindicación 8, en donde el elemento de transporte contiene un fragmento Fab de inmunoglobulina IgG1, que consiste en una primera secuencia de aminoácidos que es al menos 80 % idéntica a la SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 3.
15

10. El compuesto de la reivindicación 8, en donde el elemento de transporte contiene un fragmento Fab de inmunoglobulina IgG1, que consiste en una primera secuencia de aminoácidos seleccionada de las SEQ ID NO: 2, 8, 9, 10 u 11, y una segunda secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 3.
20

11. El compuesto de la reivindicación 8, en donde el elemento de transporte contiene un fragmento Fab de inmunoglobulina IgG1, que consiste en una primera secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 3.
25

12. El compuesto de la reivindicación 1, que contiene una enzima terapéutica para el tratamiento o la prevención de una deficiencia de enzimas lisosómicas en una enfermedad por almacenamiento lisosómico.
- 5 13. El compuesto de la reivindicación 1, que contiene una enzima terapéutica para el tratamiento o la prevención de una deficiencia de enzimas lisosómicas en una enfermedad por almacenamiento lisosómico con un componente neurológico.
- 10 14. El compuesto de la reivindicación 1, que contiene una enzima terapéutica para el tratamiento o la prevención de una deficiencia de enzimas lisosómicas en una enfermedad por almacenamiento lisosómico con un componente neurológico, seleccionándose dicha enzima terapéutica del grupo que consiste en iduronato-2-sulfatasas, α -L-iduronidasas.
- 15 15. El compuesto de la reivindicación 14, que contiene una enzima terapéutica para el tratamiento o la prevención de una deficiencia de enzimas lisosómicas en una enfermedad por almacenamiento lisosómico con un componente neurológico, seleccionándose dicha enzima terapéutica del grupo
- 20 que consiste en iduronato-2-sulfatasas, un fragmento de iduronato-2-sulfatasa que tiene actividad iduronato-2-sulfatasa o un análogo de iduronato-2-sulfatasa.
16. El compuesto de la reivindicación 14, que contiene una enzima terapéutica para el tratamiento o la prevención de una deficiencia de enzimas
- 25 lisosómicas en una enfermedad por almacenamiento lisosómico con un

componente neurológico, seleccionándose dicha enzima terapéutica del grupo que consiste en α -L-iduronidasas, un fragmento de α -L-iduronidasa que tiene actividad α -L-iduronidasa o un análogo de α -L-iduronidasa.

5 17. El compuesto de la reivindicación 1, en donde dicho elemento de transporte es capaz de transportar dicha enzima a lisosomas.

18. El compuesto de la reivindicación 17, en donde dicho elemento de transporte es capaz de transportar dicha enzima a lisosomas de células de
10 tejido neuronal.

19. El compuesto de las reivindicaciones 1-2, representado por una primera secuencia de aminoácidos al menos un 80 % idéntica a la SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos al menos un 80 % idéntica a la SEQ ID
15 NO: 4, utilizado para el tratamiento o la prevención de la deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo II.

20. El compuesto de las reivindicaciones 1-2, representado por una primera secuencia de aminoácidos seleccionada de las SEQ ID NO: 2, 8, 9, 10 u 11 y
20 una segunda secuencia de aminoácidos seleccionada de las SEQ ID NO: 4, 5, 12, 13, 14 o 15, utilizado para el tratamiento o la prevención de la deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo II.

21. El compuesto de la reivindicación 19, representado por una primera
25 secuencia de aminoácidos de la SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de

aminoácidos de la SEQ ID NO: 4, utilizado para el tratamiento o la prevención de la deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo II.

- 5 22. El compuesto de la reivindicación 19, representado por una primera secuencia de aminoácidos de la SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos de la SEQ ID NO: 4, utilizado para el tratamiento o la prevención de la deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo II con un componente neurológico.

10

23. El compuesto de la reivindicación 18, representado por la secuencia de aminoácidos de la SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos de la SEQ ID NO: 5, utilizado para el tratamiento o la prevención de la deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo II
15 con un componente neurológico.

20

24. El compuesto de las reivindicaciones 1-2, representado por una primera secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 6, utilizado para el tratamiento o la prevención de la deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo I.

25

25. El compuesto de la reivindicación 22, representado por una primera secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 6, utilizado para el tratamiento o la prevención de la

deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo I con un componente neurológico.

26. El compuesto de la reivindicación 23, representado por una primera
5 secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 2 y una segunda secuencia de aminoácidos SEQ ID NO: 7, utilizado para el tratamiento o la prevención de la deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene mucopolisacaridosis de tipo I con un componente neurológico.

10 27. Uso del compuesto de las reivindicaciones 1-15, 17-22 para obtener una composición farmacéutica que contiene una cantidad eficaz de dicho compuesto y un vehículo farmacéuticamente aceptable.

15 28. Uso del compuesto de las reivindicaciones 1-15, 17-22 para el tratamiento o la prevención de una deficiencia de enzimas lisosómicas en un sujeto que tiene una enfermedad por almacenamiento lisosómico, en donde dicho uso incluye administrar a dicho sujeto una cantidad eficaz de dicho compuesto.

20 29. El uso de acuerdo con la reivindicación 28, en donde la enfermedad por almacenamiento lisosómico es mucopolisacaridosis.

25 30. El uso de acuerdo con la reivindicación 28, en donde la enfermedad por almacenamiento lisosómico es mucopolisacaridosis de tipo II con un componente neurológico.

31. El uso de acuerdo con la reivindicación 28, en donde la enfermedad por almacenamiento lisosómico es mucopolisacaridosis de tipo II con un componente neurológico.

5

32. El uso de acuerdo con la reivindicación 28, en donde la enfermedad por almacenamiento lisosómico es mucopolisacaridosis de tipo II.