

CAPÍTULO REIVINDICATORIO MODIFICADO
(Tercer Examen de Fondo)

1. Una secuencia de ácido ribonucleico de guía única (sgARN) de *Neisseria meningitidis* (Nme) Cas9 que comprende una región truncada de repetición:anti-repetición y una región truncada de vástago 2 con respecto a un sgRNA Nme de 145 nucleótidos, en donde los nucleótidos 25-76 son una región repetición:anti-repetición y los nucleótidos 102-143 son una región de vástago 2, en donde el ARNsg tiene una longitud de secuencia seleccionada del grupo que consiste en 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 102 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.
2. La secuencia sgARN de la Reivindicación 1, que comprende una región espaciadora truncada, en donde la región espaciadora truncada tiene una longitud de 17-23 nucleótidos.
3. Un vector vírico adeno-asociado (AAV) que codifica un ácido ribonucleico de guía única (sgARN) de *Neisseria meningitidis* Cas9 que comprende una región truncada de repetición: anti-repetición y una región de vástago 2 truncada con respecto a un sgRNA Nme de 145 nucleótidos, en donde los nucleótidos 1-24 son una región espaciadora, los nucleótidos 25-76 son una región repetición:anti-repetición, los nucleótidos 79-99 son una región de vástago 1 y los nucleótidos 102-143 son una región de vástago 2, en donde el sgRNA tiene una longitud seleccionada del grupo que consiste en 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 102 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.
4. El vector AAV de la Reivindicación 3, que comprende un promotor U6.
5. El vector AAV de la Reivindicación 3, que comprende un promotor U1a.
6. El vector AAV de la Reivindicación 3, que comprende una secuencia Kozak.
7. El vector AAV de la Reivindicación 3, en donde dicho sgARN de *Neisseria meningitidis* codificado es al menos parcialmente complementario a un gen de interés.
8. El vector AAV de la Reivindicación 7, en donde dicho gen de interés se selecciona del grupo que consiste en un gen *PCSK9* y un gen *ROSA26*.
9. El vector AAV de la Reivindicación 4, en donde dicho sgARN de *Neisseria meningitidis* codificado comprende una región espaciadora truncada, en donde la región espaciadora truncada tiene una longitud de 17-23 nucleótidos.
