

REIVINDICACIONES

1. Una célula modificada genéticamente que comprende una célula precursora de células sanguíneas rojas (RBC) que comprende ARNm SB-mRENH1 y ARNm SB-mRENH2, ARNm que codifican una pareja de ZFN; y

una modificación genómica hecha después de la escisión por la pareja de ZFN, en donde la modificación está en una secuencia potenciadora de BCL11A endógena, de manera que se inactiva el gen de BCL11A en la célula.
2. Una composición que comprende las células modificadas genéticamente de la reivindicación 1 y células que descienden de estas.
3. La composición de la reivindicación 2, en donde las células modificadas genéticamente son células madre hematopoyéticas.
4. La composición de la reivindicación 3, en donde las células madre hematopoyéticas son células madre CD34+ o precursoras hematopoyéticas (HSC/PC).
5. La composición de cualquiera de las reivindicaciones 2-4, en donde las células modificadas se formulan con aproximadamente $1,0\text{-}2,0 \times 10^8$ células por bolsa a una concentración de aproximadamente 1×10^7 células/mL.
6. Una formulación que comprende cualquiera de las composiciones de cualquiera de las reivindicaciones 2-4, donde la formulación comprende entre 3×10^6 células/kg y 20×10^6 células/kg.