

REIVINDICACIONES

1. Un ácido nucleico que comprende, de 5' a 3':
una repetición de terminal invertida de 5' (ITR) que comprende SEQ ID NO: 1;
un promotor constutivo;
una secuencia de transgén que codifica la proteína frataxina (FXN) que comprende una secuencia de SEQ ID NO: 19 o 20;
una señal de poliadenilación; y
una ITR de 3' que comprende SEQ ID NO: 2 o 3.
2. El ácido nucleico de la reivindicación 1, donde el promotor dirige la expresión del transgén.
3. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-2, donde el promotor es un promotor específico del tejido.
4. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, donde el promotor comprende una secuencia seleccionada de cualquiera de las SEQ ID NO: 6-12.
5. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 4, donde la secuencia de transgén está optimizada por CpG.
6. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-5, donde el ácido nucleico comprende una secuencia de Kozak, y donde la secuencia Kozak está 5' a la secuencia de transgén.
7. El ácido nucleico de la reivindicación 6, donde la secuencia de Kozak comprende la secuencia de la SEQ ID NO: 17 o 18.
8. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-7, donde la señal de poliadenilación se selecciona de la señal de poliadenilación del virus de simio 40 (SV40), α -globina humana, α -globina de

conejo, β -globina humana, β -globina de ratón, colágeno humano, virus de polioma, hormona de crecimiento humano (hGH) y hormona de crecimiento bovino (bGH).

9. El ácido nucleico de la reivindicación 8, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de la hormona de crecimiento bovino.

10. El ácido nucleico de la reivindicación 8, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de la hormona de crecimiento humano.

11. El ácido nucleico de la reivindicación 8, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de β -globina humana.

12. El ácido nucleico de la reivindicación 8, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de β -globina de conejo.

13. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-12, donde la señal de poliadenilación comprende la secuencia de cualquiera de las SEQ ID NOs: 21-24.

14. El ácido nucleico de una cualquiera de las reivindicaciones 1-13, donde el ácido nucleico comprende además un potenciador.

15. El ácido nucleico de la reivindicación 14, donde el potenciador es un potenciador de CMV.

16. El ácido nucleico de la reivindicación 14, donde el potenciador comprende la secuencia de la SEQ ID NO: 4 o 5.

17. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-16, donde el ácido nucleico comprende además una secuencia intrónica.

18. El ácido nucleico de la reivindicación 17, donde la secuencia intrónica es una secuencia quimérica.

19. El ácido nucleico de la reivindicación 17, donde la secuencia intrónica es una secuencia híbrida.
20. El ácido nucleico de la reivindicación 17, donde la secuencia intrónica comprende secuencias aisladas de secuencias intrónicas de β -globina, beta-actina de pollo, virus diminuto de ratón e IgG humana.
21. El ácido nucleico de la reivindicación 17, donde la secuencia intrónica comprende la secuencia de cualquiera de las SEQ ID NO: 13-16.
22. El ácido nucleico de la reivindicación 1, donde el ácido nucleico comprende la secuencia de cualquiera de las SEQ ID NO: 28-64.
23. El ácido nucleico de la reivindicación 22, donde el ácido nucleico comprende la secuencia de SEQ ID NO: 32.
24. El ácido nucleico de la reivindicación 22, donde el ácido nucleico comprende la secuencia de SEQ ID NO: 49.
25. El ácido nucleico de la reivindicación 22, donde el ácido nucleico comprende la secuencia de SEQ ID NO: 51.
26. Un plásmido que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-25.
27. Una célula que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-25 o el plásmido de la reivindicación 26.
28. Un método para producir un vector de AAV recombinante, donde el método comprende poner en contacto una célula productora de AAV con el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-25 o el plásmido de la reivindicación 26.

29. Un vector de AAV recombinante que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-25 o el plásmido de la reivindicación 26.
30. El vector AAV recombinante de la reivindicación 29, donde el vector AAV recombinante es un AAV de cadena simple (ssAAV).
31. El vector de AAV recombinante de la reivindicación 29, donde el vector AAV recombinante es un AAV autocomplementario (scAAV).
32. El vector AAV recombinante de cualquiera de las reivindicaciones 29-31, donde el vector AAV comprende una proteína de la cápside de AAV1, AAV2, AAV3, AAV4, AAV5, AAV6, AAV7, AAV8, AAV9, AAV10, AAV11, AAV12, AAVrh8, AAVrh10, AAVrh32,33, AAVrh74, AAV aviar o AAV bovino.
33. Una composición que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-25, el plásmido de la reivindicación 26, la célula de la reivindicación 27 o el vector AAV recombinante de cualquiera de las reivindicaciones 29-32.