

CAPÍTULO REIVINDICATORIO MODIFICADO

(Cuarto Examen de Fondo)

1. Una secuencia de ácido ribonucleico de guía única (sgARN) de *Neisseria meningitidis* (Nme) Cas9 que comprende una región repetición de crARN truncada : anti-repetición tracrARN y una región truncada de vástago 2 tracrARN, en donde la región de vástago 2 comprende al menos ocho (8) nucleótidos 3'- terminal.
2. La secuencia sgARN de la Reivindicación 1, que comprende una región espaciadora del crARN, 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 repetición de crARN truncada: anti-repetición de tracrARN y una región de vástago 2 truncada, en donde la región de vástago 2 comprende al menos ocho (8) nucleótidos 3'-terminal.
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 el 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 el 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 el sgARN de *Neisseria meningitidis* codificado comprende una región espaciadora truncada, en donde la región espaciadora truncada tiene una longitud de 17-23 nucleótidos.
10. La secuencia sgARN de la Reivindicación 1, en donde el ARNsg tiene una longitud de secuencia seleccionada entre 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.
11. La secuencia sgARN de la Reivindicación 10, en donde el ARNsg tiene una longitud de secuencia de 101 nucleótidos.

12. El vector AAV de la Reivindicación 3, en donde el ARNsg tiene una longitud de secuencia seleccionada entre 111 nucleótidos, 107 nucleótidos, 105 nucleótidos, 103 nucleótidos, 101 nucleótidos, 100 nucleótidos y 99 nucleótidos.

13. El vector AAV de la Reivindicación 12, en donde el ARNsg tiene una longitud de secuencia de 101 nucleótidos.
