

REIVINDICACIONES

1. Un ácido nucleico que comprende, de 5' a 3':
una repetición de terminal invertida de 5' (ITR) que tiene la secuencia de la SEQ ID NO: 1;
un promotor constitutivo que tiene una secuencia de cualquiera de las SEQ ID NO: 6-12;
un potenciador que tiene una secuencia de SEQ ID NO: 4 o 5;
una secuencia intrónica que tiene una secuencia de cualquiera de las SEQ ID NO: 13-16;
una secuencia de Kozak que tiene una secuencia de SEQ ID NO: 17 o 18;
una secuencia de transgén que codifica la proteína frataxina (FXN) que tiene una secuencia de SEQ ID NO: 19 o 20;
una señal de poliadenilación que tiene una secuencia de cualquiera de SEQ ID Nos: 21-24; y
una ITR de 3' que tiene la secuencia de la 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 las reivindicaciones 1-2, donde el promotor tiene una secuencia de la SEQ ID NO: 9.
4. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-2, donde la secuencia de transgén está optimizada por CpG.
5. El ácido nucleico de la reivindicación 1, donde la secuencia de Kozak tiene la secuencia de la SEQ ID NO: 17 o 18.
6. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-4, 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 polio, hormona de crecimiento humano (hGH) y hormona de crecimiento bovino (bGH).

7. El ácido nucleico de la reivindicación 5, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de la hormona de crecimiento bovino.
8. El ácido nucleico de la reivindicación 5, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de la hormona de crecimiento humano.
9. El ácido nucleico de la reivindicación 5, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de β -globina humana.
10. El ácido nucleico de la reivindicación 5, donde la señal de poliadenilación es la señal de poliadenilación de β -globina de conejo.
11. El ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-9, donde la señal de poliadenilación tiene la secuencia de la SEQ ID NO: 22.
12. El ácido nucleico de las reivindicaciones 1-11, donde el potenciador es un potenciador de CMV.
13. El ácido nucleico de la reivindicación 12, donde el potenciador tiene la secuencia de la SEQ ID NO: 5.
14. El ácido nucleico de las reivindicaciones 1-13, donde la secuencia intrónica es una secuencia quimérica.
15. El ácido nucleico de la reivindicación 14, donde la secuencia intrónica es una secuencia híbrida.
16. El ácido nucleico de la reivindicación 14, donde la secuencia intrónica comprende secuencias aisladas de secuencias intrónicas de β -globina, beta-actina de pollo, virus diminuto de ratón e IgG humana.
17. El ácido nucleico de la reivindicación 13, donde la secuencia intrónica tiene la secuencia de SEQ ID NO: 15.

18. El ácido nucleico de la reivindicación 1, donde el ácido nucleico tiene la secuencia de cualquiera de las SEQ ID NO: 28-64.
19. El ácido nucleico de la reivindicación 18, donde el ácido nucleico tiene la secuencia de SEQ ID NO: 32.
20. El ácido nucleico de la reivindicación 18, donde el ácido nucleico tiene la secuencia de SEQ ID NO: 49.
21. El ácido nucleico de la reivindicación 18, donde el ácido nucleico tiene la secuencia de SEQ ID NO: 51.
22. Un plásmido que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-21.
23. Una línea celular que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-21 o el plásmido de la reivindicación 20.
24. Un método para producir un vector de AAV recombinante, donde el método comprende poner en contacto la línea celular de la reivindicación 23 con el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-21 o el plásmido de la reivindicación 22.
25. Un vector de AAV recombinante que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-21 o el plásmido de la reivindicación 22.
26. El vector AAV recombinante de la reivindicación 25, donde el vector AAV comprende una proteína de la cápside de AAV9.
27. Una composición que comprende el ácido nucleico de cualquiera de las reivindicaciones 1-21, el plásmido de la reivindicación 22, la línea celular de la reivindicación 23 o el vector AAV recombinante de las reivindicaciones 24-26.