

REIVINDICACIONES

1. Un casete de expresión que comprende un elemento regulador selectivo de neuronas de parvalbúmina (PV) unido operativamente a un polinucleótido que codifica un factor de transcripción diseñado que aumenta la expresión de un gen SCN1A en una célula, en donde el factor de transcripción diseñado comprende una secuencia de aminoácidos de SEQ ID NO: 127 y el elemento regulador selectivo de neuronas PV comprende la SEQ ID NO: 2.

2. El casete de expresión de la reivindicación 1, que comprende además un sitio de unión a microARN que inhibe la expresión del factor de transcripción diseñado en neuronas de excitación, y en donde el sitio de unión a microARN comprende la SEQ ID NO: 7.

3. El casete de expresión de la reivindicación 2, en donde el casete de expresión comprende una secuencia de ácido nucleico de la SEQ ID NO: 71.

4. Un vector de virus adenoasociado (AAV) que comprende el casete de expresión de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3.

5. El vector AAV de la reivindicación 4, en donde el vector AAV comprende un AAV9.

6. El vector AAV de la reivindicación 5, en donde el casete de expresión comprende además una secuencia de repetición terminal invertida (ITR) de 5' AAV y una secuencia ITR de 3' AAV, cada una derivada de un serotipo 2 de AAV.

7. Una composición que comprende el casete de expresión de cualquiera de las reivindicaciones 1-3 o el vector AAV de cualquiera de las reivindicaciones 4-6 y un portador farmacéuticamente aceptable.

8. Una línea celular que comprende el casete de expresión de cualquiera de las reivindicaciones 1-3, en donde la línea celular es HEK-293, célula A549, o HeLa.