

REIVINDICACIONES

~~1. Un promotor mínimo específico de mielina, en donde el promotor mínimo específico de mielina es una proteína cero de mielina mínima (miniMpz), en donde el promotor mínimo específico de mielina consiste en una secuencia con al menos 90 % de homología de secuencia o identidad de secuencia con la SEQ ID NO. 5 o la SEQ ID NO. 22, opcionalmente al menos 92 %, o 94 %, o 96 %, o 97 %, o 98 %, o 99 %, o 100 % de identidad de secuencia u homología de secuencia con la SEQ ID NO. 5 o la SEQ ID NO. 22, o un promotor mínimo específico de mielina que consiste en la secuencia de la SEQ ID NO. 5 o la SEQ ID NO. 22.~~

2.1. Una construcción polinucleotídica que comprende:

una primera secuencia de ácido nucleico que es un promotor específico de las células de Schwann, en donde el promotor específico de las células de Schwann es un promotor mínimo específico de ~~las células de Schwann~~ mielina, ~~de acuerdo con la reivindicación 1; en donde el promotor mínimo específico de mielina consiste en una secuencia con al menos un 98% de homología de secuencia o identidad de secuencia con SEQ ID NO. 5 o SEQ ID NO. 22, o un promotor mínimo específico de mielina que consiste en la secuencia de SEQ ID NO. 5 o SEQ ID NO. 22,~~ unido operativamente a una segunda secuencia de ácido nucleico, en donde el segundo ácido nucleico se transcribe en un primer polinucleótido y en donde el segundo ácido nucleico es el marco de lectura abierto de un gen GJB1; ~~a) es el marco de lectura abierto o ADNc u otros elementos de un gen; o b) se transcribe en un ARN no codificante.~~

3.2. Un vector viral que comprende:

~~a) el promotor mínimo específico de mielina de acuerdo con la reivindicación 1;~~
~~b) o la construcción polinucleotídica de la reivindicación 21, donde el vector viral es un AAV9 o AAVrh10.-~~

~~4. El vector viral de la reivindicación 3, en donde el vector tiene la capacidad de transducir células de Schwann y/o en donde el vector no se integra en el genoma de la célula huésped.~~

5.3. Un vector viral que comprende un promotor Mpz humano de acuerdo con la SEQ ID NO: 18 unido operativamente a un gen GJB1, en donde el vector viral es AAV9 o AAVrh10.

~~6. — Un vector viral que comprende el promotor Mpz mínimo humano de acuerdo con la SEQ ID NO: 22 unido operativamente al gen SH3TC2, en donde el vector viral es AAV9 o AAVrh10.~~

7.4. Un vector viral como sigue:

~~a) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, el promotor de la proteína cero de mielina (Mpz) y el gen indicador de EGFP en donde el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 1, en donde el promotor consiste en una secuencia de SEQ ID NO. 4 o SEQ ID NO. 18;~~

~~ba) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, el promotor de la proteína cero de mielina (Mpz) y el marco de lectura abierto (ORF) del gen de unión en hendidura beta 1 (GJB1), en donde el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 2, en donde el promotor tiene una secuencia con al menos 75%, 80%, o 82%, o 84%, o 86%, o 88%, o 90%, o 92%, o 94%, o 96%, o 97%, o 98%, o 99%, o 100% de identidad de secuencia con SEQ ID NO. 4 o SEQ ID NO. 18; o~~

~~c) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, el promotor de la proteína cero de mielina mínima (miniMpz) y el gen indicador de EGFP, en donde el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 3, en donde el promotor miniMPZ consiste en una secuencia con al menos 90%, o 92%, o 94%, o 96%, o 97%, o 98%, o 99%, o 100% de identidad de secuencia con SEQ ID NO. 5 o SEQ ID NO. 22;~~

~~db) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, el promotor de la proteína cero de mielina humana (hP0) y el marco de lectura abierto (ORF) del gen de unión en hendidura beta 1 (GJB1), en donde el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 17;~~

~~e) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, el promotor de la proteína cero de mielina humana (hP0) y el gen indicador de EGFP en donde el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 19;~~

- ~~f) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, un promotor de proteína cero de mielina mínima (Mpz) y el marco de lectura abierto (ORF) del gen SH3TC2, en el que el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 20;~~
- ~~g) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, un promotor de proteína cero de mielina mínima humana (hP0) y el marco de lectura abierto (ORF) del gen SH3TC2, en el que el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 21; o~~
- ~~h) Un vector que comprende un vector AAV9 o AAVrh10, un promotor de proteína cero de mielina mínima humana (hP0) y el gen indicador de EGFP, en el que el vector comprende la secuencia de SEQ ID NO. 23.~~

8.5. Una composición farmacéutica que comprende el vector viral de una cualquiera de las reivindicaciones 3-72 a 4, en donde opcionalmente la composición comprende ~~una cantidad apropiada terapéuticamente del vector viral y además comprende~~ un portador y/o excipiente aceptable farmacéuticamente.

9.6. Un kit que comprende uno o más de:

- a) un vector viral como se define en cualquiera de las reivindicaciones 3-7;2 a 4;
- b) una construcción polinucleotídica como se define en la reivindicación 21;
- c) un vector viral que comprende la construcción polinucleotídica como se define en la reivindicación 21; y opcionalmente uno o más de:
- d) un portador y/o excipiente aceptable farmacéuticamente; y
- e) una jeringa de un solo uso, ~~por ejemplo, una jeringa de un solo uso adecuada para inyección lumbar intratecal~~;

en donde opcionalmente el kit comprende más de un vector viral como se define en una cualquiera de las reivindicaciones 3-7anteriores2-4, en donde opcionalmente el kit comprende 2, 3, 4, 5, 6, 7, 8, 9 o 10 vectores virales diferentes como se define en una cualquiera de las reivindicaciones 3-7anteriores2-4.