

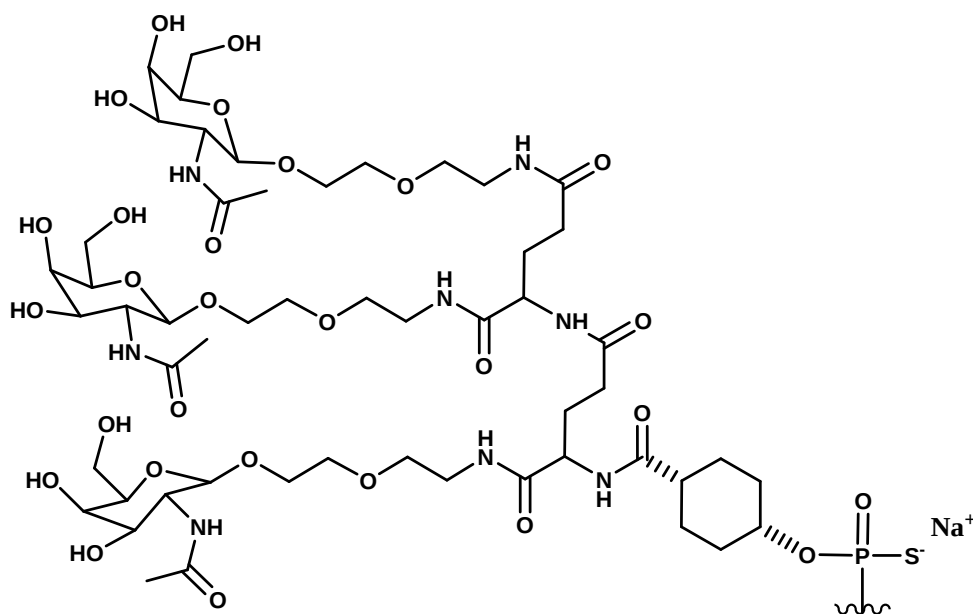
REIVINDICACIONES

1. Una unidad de dosificación que comprende aproximadamente de 5 mg a aproximadamente 300 mg de una sustancia farmacológica de iARN de AAT, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT comprende:

una hebra sentido que comprende la estructura de (NAG37)s(invAb)sagcguuuuGfGfCfauguuuuacac(invAb) (SEQ ID NO:6) y

una hebra antisentido que comprende la estructura de usGfsuUfaAfacaugCfcUfaAfaCfGcfsu (SEQ ID NO:2),

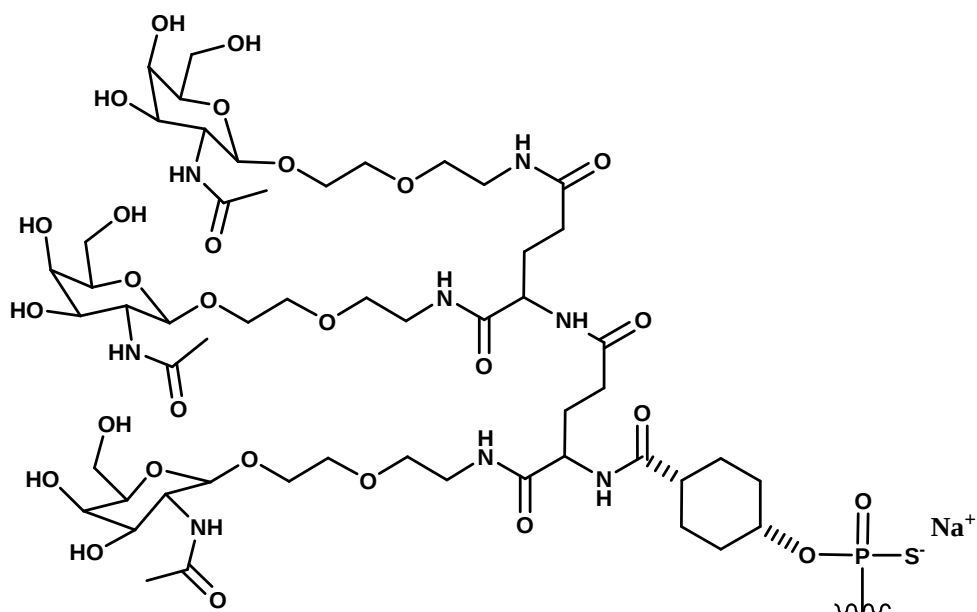
donde a, c, g y u representan 2'-O-metil adenosina, 2'-O-metil citidina, 2'-O-metil guanosina y 2'-O-metil uridina, respectivamente; Af, Cf, Gf y Uf representan 2'-fluoro adenosina, 2'-fluoro citidina, 2'-fluoro guanosina y 2'-fluoro uridina, respectivamente; s representa un enlace fosforotioato; (invAb) representa un residuo de desoxirribosa abásico invertido; y (NAG37)s representa la estructura de



2. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 25 mg a aproximadamente 300 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

3. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 25 mg a aproximadamente 200 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.
4. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, en donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 180 mg a aproximadamente 240 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.
5. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 200 mg a aproximadamente 220 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.
6. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 100 mg a aproximadamente 200 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.
7. La unidad de dosificación de la reivindicación 1, donde la unidad de dosificación comprende de aproximadamente 200 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.
8. Una unidad de dosificación que comprende aproximadamente 200 mg de una sustancia farmacológica de iARN de AAT, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT comprende una cadena sentido que comprende la estructura de (NAG37)s(invAb)sagcguuuuGfGfCfauguuuuacac(invAb) (SEQ ID NO:6) y una cadena antisentido que comprende la estructura de usGfsuUfaAfacaugCfcUfaAfaCfGCfsu (SEQ ID NO:2), en donde las cadenas sentido y antisentido se hibridan para formar un dúplex, en donde a, c, g y u representan 2'-O-metilo adenosina, 2'-O-metilo citidina, 2'-O-metilo guanosina y 2'-O-metilo uridina, respectivamente; Af, Cf, Gf y Uf representan 2'-fluoro adenosina, 2'-fluoro citidina, 2'-fluoro guanosina y 2'-fluoro uridina, respectivamente; s representa un enlace fosforotioato; (invAb) representa un residuo de desoxirribosa abásico

invertido; y (NAG37)s representa la estructura de



9. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 8, donde la unidad de dosificación es una solución acuosa adecuada para inyección subcutánea.

10. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 9, que comprende además uno o más excipientes farmacéuticamente aceptables.

11. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 10, donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT está formulada a 230 mg/ml en un agente de amortiguación de fosfato de sodio acuoso con 0,5 mM de fosfato de sodio monobásico y 0,5 mM de fosfato de sodio dibásico.

12. La unidad de dosificación de cualquiera de las reivindicaciones 1 a 10, donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT está formulada a 200 mg/ml en un agente de amortiguación de fosfato de sodio acuoso con 0,5 mM de fosfato de sodio monobásico y 0,5 mM de fosfato de sodio dibásico.

13. Un kit que comprende una primera unidad de dosificación que comprende de aproximadamente 5 mg a aproximadamente 300 mg de una sustancia farmacológica de iARN de AAT, donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT comprende una cadena sentido con la estructura de (NAG37)s(invAb)sagcguuuuGfGfCfauguuuuacac(invAb) (SEQ ID NO: 6) y una cadena antisentido con la estructura de usGfsuUfaAfacaugCfcUfaAfaCfGcfsu (SEQ ID NO: 2), donde las cadenas sentido y

CC(=O)N[C@H]1O[C@@H](COCCOCCNC(=O)C[C@H](N)C(=O)N[C@H]2C[C@H](O)[C@H](COCCOCCNC(=O)C[C@H](N)C(=O)N[C@H]3C[C@H](O)[C@H](COCCOCCNC(=O)C[C@H](N)C(=O)N[C@H]4C[C@H](O)[C@H](CO)[C@@H](O)[C@H]4O)O)O[C@H]3O)[C@H](O)[C@H](O)[C@H]1O

16. El kit de la reivindicación 13, en donde cada unidad de dosificación comprende de aproximadamente 200 mg a aproximadamente 220 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.

17. El kit de la reivindicación 13, en donde cada unidad de dosificación comprende de aproximadamente 200 mg de la sustancia farmacológica de iARN de AAT.
18. El kit de cualquiera de las reivindicaciones 13 a 17, en donde cada unidad de dosificación es una solución acuosa apta para inyección subcutánea.
19. El kit de cualquiera de las reivindicaciones 13 a 18, en donde cada unidad de dosificación comprende además uno o más excipientes farmacéuticamente aceptables.
20. El kit de cualquiera de las reivindicaciones 13-19, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT está formulada a 230 mg/ml en un agente de amortiguación de fosfato de sodio acuoso con 0,5 mM de fosfato de sodio monobásico y 0,5 mM de fosfato de sodio dibásico.
21. El kit de cualquiera de las reivindicaciones 13-19, en donde la sustancia farmacológica de iARN de AAT está formulada a 200 mg/ml en un agente de amortiguación de fosfato de sodio acuoso con 0,5 mM de fosfato de sodio monobásico y 0,5 mM de fosfato de sodio dibásico.