

P-2022/15169
Reivindicaciones para modificación voluntaria
19 de enero 2023

REIVINDICACIONES

1. Un oligómero antisentido que se selecciona del grupo que consta de (a) a (d) a continuación:

5 (a) un oligómero antisentido que comprende una secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5;

(b) un oligómero antisentido que comprende una secuencia de base que tiene eliminación, sustitución, inserción y/o adición de 1 a 5 base(s) en la secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5, y tiene una actividad para inducir el salto de exón 50 en
10 el gen de distrofina humana;

(c) un oligómero antisentido que comprende una secuencia de base que tiene al menos 80% de identidad de secuencia a una secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5 y tiene una actividad para inducir el salto de exón 50 en el gen de distrofina humana;

15 (d) un oligómero antisentido que se hibrida en condiciones rigurosas a un oligonucleótido que consta de una secuencia de base complementaria a la secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5 y tiene una actividad para inducir el salto de exón 50 en el gen de distrofina humana,

o una sal farmacéuticamente aceptable o hidrato del mismo.

20

2. Un oligómero antisentido que se selecciona del grupo que consta de (e) a (h) a continuación:

(e) un oligómero antisentido que consta de una secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5;

25 (f) un oligómero antisentido que consta de una secuencia de base que tiene eliminación y/o sustitución de 1 a 5 base(s) en la secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5, y tiene una actividad para inducir el salto de exón 50 en el gen de distrofina humana;

(g) un oligómero antisentido que consta de una secuencia de base que tiene al
30 menos 80% de identidad de secuencia a una secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5 y tiene una actividad para inducir el salto de exón 50 en el gen de distrofina humana;

(h) un oligómero antisentido que se hibrida en condiciones rigurosas altas a un oligonucleótido que consta de una secuencia de base complementaria a la secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5 y tiene una actividad para inducir el salto de exón 50

P-2022/15169
Reivindicaciones para modificación voluntaria
19 de enero 2023

en el gen de distrofina humana,

o una sal farmacéuticamente aceptable o hidrato del mismo.

3. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este
5 de acuerdo con la reivindicación 1, en donde

el oligómero antisentido es

un oligómero antisentido que comprende una secuencia de bases que tiene al
menos 90% de identidad de secuencia a una secuencia de base de SEQ ID NO: 4 o 5
y tiene una actividad para inducir el salto de exón 50 en el gen de distrofina humana.

10

4. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este
de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3, en donde el oligómero
antisentido es un oligonucleótido.

15 5. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este
de acuerdo con la reivindicación 4, en donde la porción azúcar y/o la porción
enlace fosfato de al menos un nucleótido que constituye el oligonucleótido se
modifican.

20 6. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este
de acuerdo con la reivindicación 4 o 5, en donde la porción azúcar de al menos
un nucleótido que constituye el oligonucleótido es una ribosa en la que el grupo
2'-OH es reemplazado por cualquiera seleccionado del grupo que consta de OR,
R, R'OR, SH, SR, NH₂, NHR, NR₂, N₃, CN, F, Cl, Br e I (en donde R es un alquilo o
25 un arilo y R' es un alquilenos).

7. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este
de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 4 a 6, en donde la porción
enlace fosfato de al menos un nucleótido que constituye el oligonucleótido es
30 cualquiera que se selecciona del grupo que consta de un enlace fosforotioato, un
enlace fosforoditioato, un enlace alquilfosfonato, un enlace fosforamidato y un
enlace boranofosfato.

8. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este

P-2022/15169

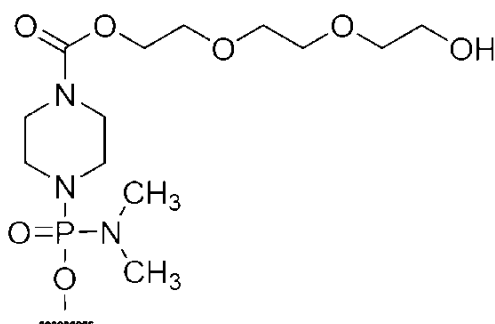
Reivindicaciones para modificación voluntaria

19 de enero 2023

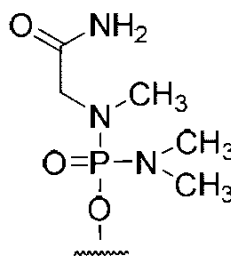
de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 3, en donde el oligómero antisentido es un oligómero de morfolino.

9. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este de acuerdo con la reivindicación 8, en donde el oligómero antisentido es un oligómero de morfolino de fosforodiamidato.

10. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este de acuerdo con la reivindicación 8 o 9, en donde el extremo 5' es cualquiera de las fórmulas químicas (1) a (3) a continuación:



(1)



(2)



(3)

11. El oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 10, en donde la longitud del oligómero antisentido es de 19 o 20 bases.

12. Una composición que comprende el oligómero antisentido o la sal o hidrato farmacéuticamente aceptable de este de acuerdo con cualquiera de las reivindicaciones 1 a 11.

13. La composición de acuerdo con la reivindicación 12, que comprende además un portador farmacéuticamente aceptable.