

REIVINDICACIONES

1. Un vector del virus adenoasociado recombinante (rAAV) CARACTERIZADO POR QUE comprende:
 - a) una cápside del AAV8;
 - b) una secuencia de nucleótidos que codifica una enzima iduronato-2-sulfatasa (I2S), en donde la secuencia de nucleótidos que codifica la enzima I2S comprende la secuencia establecida en SEQ ID NO: 12;
 - c) una repetición terminal invertida (ITR) en el extremo 5', en donde la ITR del extremo 5' comprende la secuencia establecida en SEQ ID NO: 10;
 - d) un módulo regulador cisactuante (CRM), en donde el CRM comprende la secuencia establecida en SEQ ID NO: 3;
 - e) un promotor específico del hígado, en donde el promotor específico del hígado comprende la secuencia establecida en SEQ ID NO: 4;
 - f) un virus diminuto de ratón (MVM), en donde el MVM comprende la secuencia establecida en SEQ ID NO: 5;
 - g) un elemento regulador postranscripcional del virus de la hepatitis Woodchuck (WPRE), en donde el WPRE comprende la secuencia establecida en SEQ ID NO: 7; y
 - h) una repetición terminal invertida (ITR) en el extremo 3', en donde la ITR del extremo 3' comprende la secuencia establecida en SEQ ID NO: 9.
2. El vector del rAAV de la reivindicación 1, CARACTERIZADO POR QUE la secuencia del MVM está arriba de la secuencia I2S.
3. El vector del rAAV de la reivindicación 1, CARACTERIZADO POR QUE el vector del rAAV comprende además un factor que modifica la sulfatasa 1 (SUMF1).
4. El vector del rAAV de la reivindicación 3, CARACTERIZADO POR QUE el SUMF1 está precedido por un sitio de entrada interna del ribosoma (IRES).
5. Una composición farmacéutica CARACTERIZADA POR QUE comprende el vector del rAAV de cualquiera de cualquiera de las reivindicaciones anteriores y un excipiente, diluyente o portador farmacéuticamente aceptable.