

1. Un ARN ghid cu o singură moleculă (ARNsg) care cuprinde secvența de acid nucleic din SECV ID NR: 71.959, în care ARNsg cuprinde trei resturi de 2'-O-metil-fosforotioat la fiecare dintre extremitățile sale 5' și 3'.
2. Un ARN ghid cu o singură moleculă (ARNsg) care cuprinde secvența de acid nucleic din SECV ID NR: 71.959, în care bazele 1-3 și 97-99 sunt nucleotide 2'-O-metil-fosforotioat modificate.
3. Un acid nucleic care cuprinde o secvență nucleotidică care codifică ARNsg-ul conform revendicării 1 sau revendicării 2.
4. Un vector care cuprinde acidul nucleic definit în revendicarea 3.
5. ARNsg-ul conform revendicării 1 sau revendicării 2, acidul nucleic conform revendicării 3 sau vectorul conform revendicării 4, pentru utilizare în tratamentul unui pacient care suferă de hemoglobinopatie.
6. ARNsg pentru utilizare conform revendicării 5, acid nucleic pentru utilizare conform revendicării 5 sau vector pentru utilizare din revendicarea 5, în care hemoglobinopatia este anemia falciformă și talasemia.
7. ARNsg pentru utilizare conform revendicării 5, acid nucleic pentru utilizare conform revendicării 5 sau vector pentru utilizare conform revendicării 5, în care hemoglobinopatia este o talasemie iar talasemia este selectată din grupul care constă din α , β , δ , γ , și combinațiile acestora, opțional în care talasemia este β -talasemia.
8. O metodă *ex vivo* de editare a genei limfomului 11A cu celulă-B (BCL11A) într-o celulă umană prin editarea genomului, metodă care cuprinde:
introducerea în celula umană a unei sau a mai multor endonucleaze ale acidului dezoxiribonucleic (ADN) sau un acid nucleic care cuprinde o secvență nucleotidică care codifică una sau mai multe endonucleaze ADN sau un vector care cuprinde numitul acid nucleic pentru a produce una sau mai multe ruperi-monocatenare

(SSB-uri) sau dublu-catenare (DSS-uri) în interiorul sau în vecinătatea genei BCL11A sau a unei alte secvențe ADN care codifică un element reglator al genei BCL11A, are drept rezultat o deleție permanentă, o modulare permanentă sau o inactivare permanentă a unei secvențe de control transcripțional a genei BCL11A, în care metoda cuprinde în plus introducerea în celula ARNsg-ului conform revendicării 1 sau revendicării 2, a unui acid nucleic care cuprinde o secvență nucleotidică care codifică secvența acidului nucleic a numitului ARNsg, sau un vector care cuprinde numitul acid nucleic, și în care una sau mai multe endonucleaze ADN cuprind o endonuclează Cas9.

9. Metodă conform revendicării 8, în care acidul nucleic care cuprinde secvența nucleotidică care codifică una sau mai multe endonucleaze ADN este unul sau mai mulți acizi ribonucleici (ARN-uri).
10. Metodă conform revendicării 8 sau revendicării 9, în care una sau mai multe endonucleaze ADN fiecare cuprinde, la atomul N-terminal, la atomul C-terminal sau la ambele N-terminal și C-terminal, unul sau mai multe semnale de localizare nucleară (NLS-uri), în mod opțional în care unul sau mai multe NLS-uri cuprinde NLS SV40.
11. Metodă conform revendicării 8 sau revendicării 10, în care una sau mai multe endonucleaze ADN este pre-complexată cu ARNsg pentru a forma una sau mai multe ribonucleoproteine (RNP-uri), în mod opțional în care una sau mai multe endonucleaze ADN sunt combinate cu ARNsg într-un raport, în greutate de 1:1 endonuclează ADN la ARNsg pentru a forma una sau mai multe RNP-uri.
12. Metodă conform revendicării 11, în care una sau mai multe RNP-uri sunt livrate celulei umane prin electroporare, în mod opțional în care una sau mai multe endonucleaze ADN sunt o Cas9 din specia *S. pyogenes* care cuprinde NLS SV40 la N-terminal și NLS SV40 la C-terminal.

- 13.** Metodă conform oricăreia dintre revendicările de la 8 la 12, în care celula umană este o celulă progenitoare hematopoietică, în mod opțional în care celula progenitoare hematopoietică este o celulă CD34+.