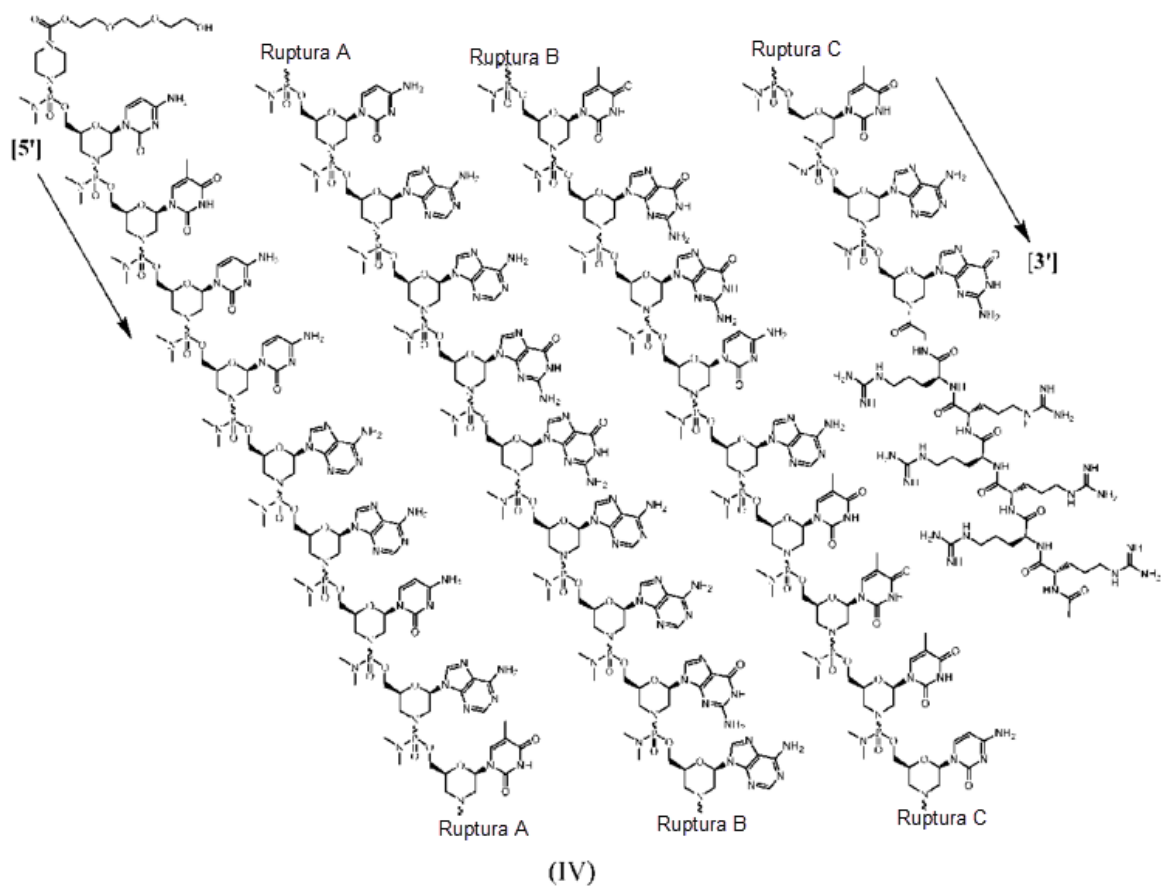
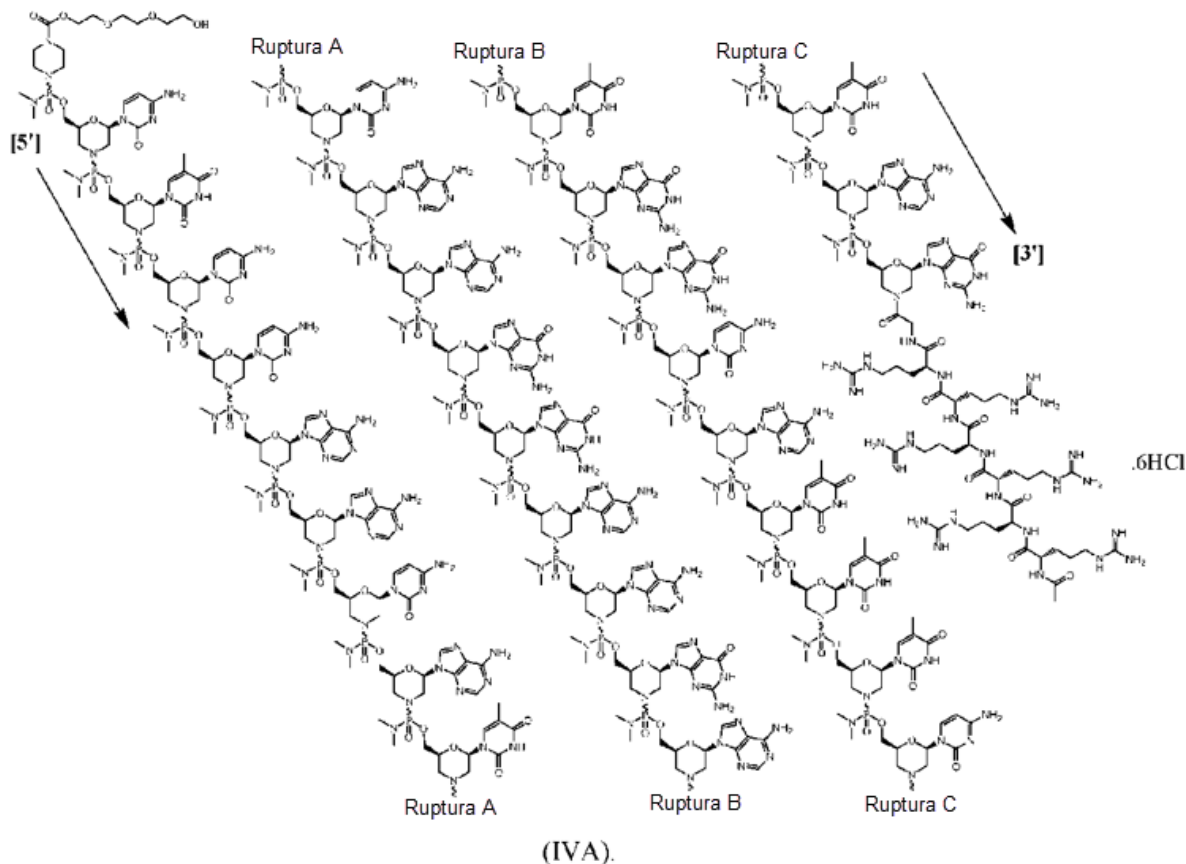


1. Conjugat de oligomer antisens cu Formula (IV):



sau o sare acceptabilă farmaceutic a acestuia.

2. Conjugat de oligomer antisens din revendicarea 1, în care oligomerul antisens are Formula (IVA):



3. Compoziție farmaceutică, care cuprinde un conjugat de oligomer antisens din revendicarea 1 sau 2, sau o sare acceptabilă farmaceutic a acestuia și un purtător acceptabil farmaceutic.
4. Conjugat de oligomer antisens sau o sare acceptabilă farmaceutic a acestuia din revendicarea 1 sau 2, pentru utilizare în terapie.
5. Conjugat de oligomer antisens sau sare acceptabilă farmaceutic a acestuia din revendicarea 1 sau 2, sau compoziția farmaceutică din revendicarea 3, pentru utilizare în tratarea distrofiei musculare Duchenne (DMD) la un subiect care are nevoie de aceasta, în care subiectul are o mutație a genei distrofinei care este susceptibilă de omitere a exonului 45.

- 6.** Conjugat de oligomer antisens sau sare acceptabilă farmaceutic a acestuia din revendicarea 1 sau 2, sau compoziția farmaceutică din revendicarea 3, pentru utilizare în restabilirea unui cadru de citire a ARNm pentru a induce producția de distrofină la un subiect care are o mutație a genei distrofinei care este susceptibilă de omitere a exonului 45.
- 7.** Conjugat de oligomer antisens sau compoziția farmaceutică, pentru utilizare conform revendicării 5 sau revendicării 6, în care utilizarea cuprinde administrarea conjugatului de oligomer antisens săptămânal.
- 8.** Conjugat de oligomer antisens sau compoziția farmaceutică, pentru utilizare conform revendicării 5 sau revendicării 6, în care utilizarea cuprinde administrarea conjugatului de oligomer antisens la două săptămâni.
- 9.** Conjugat de oligomer antisens sau compoziția farmaceutică, pentru utilizare conform revendicării 5 sau revendicării 6, în care utilizarea cuprinde administrarea conjugatului de oligomer antisens la fiecare trei săptămâni.
- 10.** Conjugat de oligomer antisens sau compoziția farmaceutică, pentru utilizare conform revendicării 5 sau revendicării 6, în care utilizarea cuprinde administrarea lunară a conjugatului de oligomer antisens.
- 11.** Compoziția farmaceutică din revendicarea 3, pentru utilizare în excluderea exonului 45 din pre-ARNm de distrofină în timpul prelucrării ARNm-ului la un subiect care are o mutație a genei distrofinei care este susceptibilă de omitere a exonului 45.
- 12.** Compoziția farmaceutică din revendicarea 3, pentru utilizare în legarea exonului 45 al pre-ARNm de distrofină la un subiect care are o mutație a genei distrofinei care este susceptibilă de omitere a exonului 45.