1. Vienos molekulės nukreipiančioji RNR (sgRNR), apimanti nukleorūgščių seką SEQ ID Nr. 71959, kur sgRNR apima tris 2'-O-metil-fosforotioato liekanas kiekviename iš 5' ir 3' galų.

2. Vienos molekulės nukreipiančioji RNR (sgRNR), apimanti nukleorūgščių seką SEQ ID Nr. 71959, kur 1-3 ir 97-99 bazės yra modifikuoti 2'-O-metil-fosforotioato nukleotidai.

3. Nukleorūgštis, apimanti nukleotidų seką, koduojančią sgRNR pagal 1 arba 2 punktą.

4. Vektorius, apimantis nukleorūgštį pagal 3 punktą.

5. sgRNR pagal 1 arba 2 punktą, nukleorūgštis pagal 3 punktą arba vektorius pagal 4 punktą, skirti panaudoti hemoglobinopatija sergančio paciento gydymui.

6. sgRNR, skirta panaudoti pagal 5 punktą, nukleorūgštis, skirta panaudoti pagal 5 punktą, arba vektorius, skirtas panaudoti pagal 5 punktą, kur hemoglobinopatija yra pjautuvinių ląstelių anemija arba talasemija.

7. sgRNR, skirta panaudoti pagal 6 punktą, nukleorūgštis, skirta panaudoti pagal 6 punktą, arba vektorius, skirtas panaudoti pagal 6 punktą, kur hemoglobinopatija yra talasemija, ir talasemija yra pasirinkta iš grupės, susidedančios iš α, β, δ, γ ir jų derinių, papildomai pasirinktinai, kur talasemija yra β-talasemija.

8. B ląstelių limfomos 11A (BCL11A) geno redagavimo *ex vivo* sąlygomis žmogaus ląstelėje būdas genomo redagavimo metodu, kur būdas apima:

vienos arba daugiau deoksiribonukleorūgšties (DNR) endonukleazių arba nukleorūgšties, apimančios nukleotidų seką, koduojančią vieną arba daugiau DNR endonukleazių, arba vektoriaus, apimančio minėtą nukleorūgštį, įvedimas į žmogaus ląstelę tam, kad susidarytų vienas arba daugiau vienos grandinės pertrūkių (SSB) arba dvigubos grandinės pertrūkių (DSB) BCL11A gene arba kitoje DNR sekoje, koduojančioje BCL11A geno reguliacinį elementą, arba šalia jų, ir dėl to BCL11A geno transkripcijos kontrolės seka visam laikui pašalinama, moduliuojama arba inaktyvuojama,

kuris būdas papildomai apima sgRNR pagal 1 arba 2 punktą įvedimą į ląstelę, nukleorūgštį, apimančią nukleotidų seką, koduojančią minėtos sgRNR nukleorūgšties seką, arba vektorių, apimantį minėtą nukleorūgštį, ir kur minėta viena arba daugiau DNR endonukleazių apima Cas9 endonukleazę.

9. Būdas pagal 8 punktą, kur nukleorūgštis, apimanti nukleotidų seką, koduojančią minėtą vieną arba daugiau DNR endonukleazių, yra viena arba daugiau ribonukleorūgščių (RNR).

10. Būdas pagal 8 arba 9 punktą, kur kiekviena iš vienos arba daugiau DNR endonukleazių N gale, C gale arba abiejuose N gale ir C gale apima vieną arba daugiau branduolio lokalizacijos signalų (NLS), pasirinktinai, kur minėtas vienas arba daugiau NLS apima SV40 NLS.

11. Būdas pagal 8 arba 10 punktą, kur viena arba daugiau DNR endonukleazių yra iš anksto sudaro kompleksą su sgRNR tam, kad būtų suformuotas vienas arba daugiau ribonukleoproteinų (RNP), kur pasirinktinai minėta viena arba daugiau DNR endonukleazių yra sujungtos su sgRNR svorio santykiu 1 **:** 1 DNR endonukleazė su sgRNR tam, kad būtų suformuotas vienas arba daugiau RNP.

12. Būdas pagal 11 punktą, kur vienas arba daugiau RNP yra tiekiami į žmogaus ląstelę elektroporacijos būdu, kur pasirinktinai viena arba daugiau DNR endonukleazių yra *S. pyogenes* Cas9, apimantis N galo SV40 NLS ir C galo SV40 NLS.

13. Būdas pagal bet kurį vieną iš 8-12 punktų, kur žmogaus ląstelė yra kraujodaros pirmtako ląstelė, kur pasirinktinai kraujodaros pirmtako ląstelė yra CD34+ ląstelė.