1. Oligomerinis junginys, apimantis modifikuotą oligonukleotidą, susidedantį iš 14-25 sujungtų nukleozidų, kur modifikuotas oligonukleotidas yra komplementarus SMN2 pre-mRNR; ir kur mažiausiai vienas modifikuoto oligonukleotido nukleozidas apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu).

2. Oligomerinis junginys pagal 1 punktą, kur:

a. kiekvienas iš 7 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

b. kiekvienas iš 8 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

c. kiekvienas iš 9 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

d. kiekvienas iš 10 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

e. kiekvienas iš 11 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

f. kiekvienas iš 12 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

g. kiekvienas iš 13 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

h. kiekvienas iš 14 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

i. kiekvienas iš 15 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

j. kiekvienas iš 16 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

k. kiekvienas iš 17 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

l. kiekvienas iš 18 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu);

m. kiekvienas iš 19 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu); arba

n. kiekvienas iš 20 modifikuoto oligonukleotido nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu).

3. Oligomerinis junginys pagal 1 arba 2 punktą, kur:

a. kiekvienas iš cukraus fragmentų, modifikuotų 2'-O-(N-alkilacetamidu), yra cukraus fragmentas su modifikuotu 2'-O-(N-metilacetamidu); arba

b. modifikuoto oligonukleotido kiekvieno nukleozido cukraus fragmentas yra cukraus fragmentas su modifikuotu 2’-O-(N-alkilacetamidu); arba

c. modifikuoto oligonukleotido kiekvieno nukleozido cukraus fragmentas yra cukraus fragmentas su modifikuotu 2'-O-(N- alkilacetamidu).

4. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-3 punktų, kur:

a. modifikuotas oligonukleotidas susideda iš: 16-23 sujungtų nukleozidų; arba

b. modifikuotas oligonukleotidas susideda iš: 18-20 sujungtų nukleozidų.

5. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-4 punktų, kur:

a. modifikuotas oligonukleotidas susideda iš 16 nukleozidų;

b. modifikuotas oligonukleotidas susideda iš 17 nukleozidų;

c. modifikuotas oligonukleotidas susideda iš 18 nukleozidų;

d. modifikuotas oligonukleotidas susideda iš 19 nukleozidų; arba

e. modifikuotas oligonukleotidas susideda iš 20 nukleozidų.

6. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-5 punktų, kur kiekviena modifikuoto oligonukleotido tarpnukleozidinė jungtis yra pasirinkta iš fosforotioato tarpnukleozidinės jungties ir fosfodiesterio tarpnukleozidinės jungties, kur pasirinktinai:

a. modifikuotas oligonukleotidas turi 5 fosfodiesterio tarpnukleozidines jungtis;

b. modifikuotas oligonukleotidas turi 6 fosfodiesterio tarpnukleozidines jungtis; arba

c. modifikuotas oligonukleotidas turi mažiausiai 6 fosfodiesterio tarpnukleozidines jungtis.

7. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-6 punktų, kur modifikuotas oligonukleotidas apima mažiausiai vieną modifikuotą nukleobazę, pasirinktinai, kur modifikuotas oligonukleotidas apima mažiausiai vieną 5-metilcitoziną.

8. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-7 punktų, kur:

a. modifikuotas oligonukleotidas yra mažiausiai 70% komplementarus SMN2 pre-mRNR;

b. modifikuotas oligonukleotidas yra mažiausiai 75% komplementarus SMN2 pre-mRNR;

c. modifikuotas oligonukleotidas yra mažiausiai 80% komplementarus SMN2 pre-mRNR;

d. modifikuotas oligonukleotidas yra mažiausiai 85% komplementarus SMN2 pre-mRNR;

e. modifikuotas oligonukleotidas yra mažiausiai 90% komplementarus SMN2 pre-mRNR;

f. modifikuotas oligonukleotidas yra mažiausiai 95% komplementarus SMN2 pre-mRNR; arba

g. modifikuotas oligonukleotidas yra100 % komplementarus SMN2 pre-mRNR.

9. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-8 punktų, kur oligomerinis junginys apima konjugato grupę, pasirinktinai, kur konjugato grupė apima lipidinę arba lipofilinę grupę, kur pasirinktinai:

a. lipidinė arba lipofilinė grupė yra pasirinkta iš: cholesterolio, C10-C26 sočiųjų riebalų rūgšties, C10-C26 nesočiųjų riebalų rūgšties, C10-C26 alkilo, triglicerido, tokoferolio arba cholio rūgšties;

b. lipidinė arba lipofilinė grupė yra sočiųjų angliavandenilių grandinė arba nesočiųjų angliavandenilių grandinė;

c. lipidinė arba lipofilinė grupė yra C16 alkilas; arba

d. lipidinė arba lipofilinė grupė yra sočioji C16.

10. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-9 punktų, kur modifikuotas oligonukleotidas yra komplementarus ISS-N1 domenui SMN2 pre-mRNR.

11. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-10 punktų, kur modifikuoto oligonukleotido nukleobazių seka apima seką, pasirinktą iš SEQ ID Nr. 1, 2 arba 3, tokią kaip, kurioje modifikuoto oligonukleotido nukleobazių seka susideda iš SEQ ID Nr. 3.

12. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-11 punktų, kur oligomerinis junginys yra vienagrandis.

13. Modifikuotas oligonukleotidas, susidedantis iš 18 sujungtų nukleozidų, ir kurio nukleobazių seka yra SEQ ID Nr. 3, kur kiekvienas modifikuoto oligonukleotido nukleozidas apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2'-O-(N-metilacetamidu), ir kur kiekviena modifikuoto oligonukleotido tarpnukleozidinė jungtis yra pasirinkta iš fosforotioato tarpnukleozidinės jungties ir fosfodiesterio tarpnukleozidinės jungties.

14. Modifikuotas oligonukleotidas, susidedantis iš 18-20 sujungtų nukleozidų, apimančių SEQ ID Nr. 1 nukleobazių seką, kur kiekvienas iš modifikuoto oligonukleotido 18 nukleozidų apima cukraus fragmentą su modifikuotu 2'-O-(N-metilacetamidu), ir kur kiekviena modifikuoto oligonukleotido tarpnukleozidinė jungtis yra pasirinkta iš fosforotioato tarpnukleozidinės jungties ir fosfodiesterio tarpnukleozidinės jungties.

15. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-12 punktų arba modifikuotas oligonukleotidas pagal 13 arba 14 punktą, kur modifikuotas oligonukleotidas yra natrio druska arba kalio druska.

16. Farmacinė kompozicija, apimanti oligomerinį junginį pagal bet kurį iš 1-12 arba 15 punktų, arba modifikuotą oligonukleotidą pagal bet kurį iš 13-15 punktų ir mažiausiai vieną farmaciniu požiūriu priimtiną nešiklį arba skiediklį.

17. Farmacinė kompozicija pagal 16 punktą, kur kompozicija apima farmaciniu požiūriu priimtiną skiediklį, ir farmaciniu požiūriu priimtinas skiediklis yra fosfatinis buferinis fiziologinis tirpalas (PBS), kur pasirinktinai farmacinė kompozicija susideda iš junginio ir PBS.

18. Oligomerinis junginys pagal bet kurį iš 1-12 arba 15 punktų, modifikuotas oligonukleotidas pagal bet kurį iš 13-15 punktų arba farmacinė kompozicija pagal 16 arba 17 punktą, skirti panaudoti taikant paciento stuburo raumenų atrofijos gydymo būdą.