1. Nukleorūgštis, skirta slopinti tikslinio geno raišką ląstelėje, apimanti mažiausiai vieną duplekso sritį, apimančią mažiausiai dalį pirmosios grandinės ir mažiausiai dalį antrosios grandinės, kuri yra mažiausiai iš dalies komplementari pirmajai grandinei, kur minėta pirmoji grandinė yra mažiausiai iš dalies komplementari mažiausiai daliai RNR molekulės, transkribuotos nuo minėto tikslinio geno,

kur visi nukleorūgšties nukleotidai yra modifikuoti cukraus 2' padėtyje, kur 2 ir 14 padėtys pirmojoje grandinėje, pradedant nuo 5' galo, yra modifikuotos 2' fluoru,

kur nukleorūgštis yra modifikuota pirmoje grandinėje su kintančiomis 2' O-metilo modifikacijomis ir 2' fluoro modifikacijomis, ir

kur antroji grandinė yra modifikuota 2' fluoro modifikacijomis 11-13 padėtyse, skaičiuojant nuo 3' galo, pradedant nuo pirmosios dvigubos grandinės srities padėties, ir likusios modifikacijos yra 2' O-metilo modifikacijos.

2. Nukleorūgštis pagal 1 punktą, kur galinis nukleotidas, esantis mažiausiai vienos iš pirmosios grandinės ir antrosios grandinės 3' gale yra invertuotas nukleotidas, ir yra prijungtas prie gretimo nukleotido per galinio nukleotido 3' anglį ir gretimo nukleotido 3' anglį, ir (arba) galinis nukleotidas, esantis mažiausiai vienos iš pirmosios grandinės ir antrosios grandinės 5' gale, yra invertuotas nukleotidas, ir yra prijungtas prie gretimo nukleotido per galinio nukleotido 5' anglį ir gretimo nukleotido 5' anglį, arba kur nukleorūgštis apima fosforoditioato jungtį.

3. Nukleorūgštis pagal bet kurį ankstesnį punktą, kur nukleorūgštis abiejuose galuose turi bukus galus.

4. Nukleorūgštis pagal bet kurį ankstesnį punktą, kur pirmoji grandinė ir antroji grandinė kiekviena yra 19 nukleotidų ilgio.

5. Nukleorūgštis pagal bet kurį ankstesnį punktą, kur nukleorūgštis abiejuose galuose turi bukus galus, ir pirmoji bei antroji grandinė yra 19 nukleotidų ilgio.

6. Konjuguota nukleorūgštis, apimanti nukleorūgštį pagal bet kurį ankstesnį punktą, konjuguotą su ligandu.

7. Konjuguota nukleorūgštis pagal 6 punktą, kur nukleorūgštis yra konjuguota su ligandu, kurio formulė (III):

                                                    [S-X1-P-X2]3-A-X3-                (III)

kur:

S reiškia sacharidą;

X1 reiškia C3-C6 alkileną arba (-CH2-CH2-O)m(-CH2)2-, kur m yra 1, 2 arba 3;

P yra fosfatas arba modifikuotas fosfatas;

X2 yra alkileno eteris, kurio formulė -C3H6-O-CH2-;

A yra šakotasis vienetas;

X3 yra alkileno eteris, kurio formulė pasirinkta iš grupės, susidedančios iš -CH2-O-C4H8-, -CH2-O-C5H10-, -CH2-O-C6H12-, -CH2-O-C7H14- ir -CH2-O-C8H16-, kur kiekvienu atveju -CH2- grupė yra prijungta prie A,

kur nukleorūgštis pagal bet kurį iš 1-5 punktų yra konjuguota su X3 per fosfatą arba modifikuotą fosfatą.

8. Konjuguota nukleorūgštis pagal 7 punktą, kur P, kurio formulė (III), yra tiofosfatas.

9. Konjuguota nukleorūgštis pagal 7 arba 8 punktą, kur nukleorūgštis pagal bet kurį iš 1-5 punktų yra konjuguota su X3 per tiofosfatą.

10. Kompozicija, apimanti nukleorūgštį pagal bet kurį iš 1-5 punktų arba konjuguotą nukleorūgštį pagal bet kurį iš 6-9 punktų ir fiziologiškai priimtiną pagalbinę medžiagą.

11. Nukleorūgštis pagal bet kurį iš 1-5 punktų arba konjuguota nukleorūgštis pagal bet kurį iš 6-9 punktų arba kompozicija pagal 10 punktą, skirti panaudoti ligos arba sutrikimo gydymui.