1. Vektorių sistema, apimanti mažiausiai dvi AAV daleles, kurių kiekviena apima turintį dalinę kodavimo seką, kuri koduoja i) otoferlino polipeptido arba jo funkcinio fragmento

N-galinę dalį, visų pirma, ir ii) otoferlino polipeptido arba jo funkcinio fragmento C-galinę dalį, kita vertus, minėta vektorių sistema, leidžianti išreikšti viso ilgio otoferlino polipeptidą arba jo funkcinį fragmentą vidinėse plauko ląstelėse, skirta gydyti pacientus, sergančius DFNB9 kurtumu, arba DFNB9 kurtumo prevencijai pacientams, turintiems DFNB9 mutacijas, kur minėti pacientai yra žmonės, turintys išvystytą ir subrendusią klausos sistemą.

2. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal 1 punktą, kur minėtas otoferlino polipeptidas turi seką SEQ ID Nr. 1.

3. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal 1 punktą, kur minėtas otoferlino polipeptidas turi seką SEQ ID Nr. 5.

4. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-3 punktų, kur minėti žmonės pacientai yra naujagimiai, kūdikiai, maži vaikai, paaugliai arba suaugusieji.

5. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-4 punktų, apimanti mažiausiai dvi AAV daleles, kurių kiekviena iš minėtų AAV dalelių apima:

* 1. visų pirma, pirmąjį polinukleotidą, turintį invertuotą galinį pasikartojimą kiekviename minėto polinukleotido gale, o tarp minėtų invertuotų galinių pasikartojimų – nuo 5’ iki 3’: tinkamą promotorių, po kurio seka dalinė kodavimo seka, kurioje yra *Otoferlino* geno N- terminalo dalis ir splaisingo donoro vieta, ir
	2. kita vertus, antrajį polinukleotidą, apimantį invertuotą galinį pasikartojimą kiekviename minėto polinukleotido gale, o tarp minėtų invertuotų galinių pasikartojimų – nuo 5’ iki 3’:

splaisingo akceptoriaus vietą, dalinę kodavimo seką, kurioje yra *Otoferlino* geno C-galinė dalis, po kurios pasirinktinai seka poliadenilinimo seka,

kur minėtas pirmasis ir antrasis polinukleotidai taip pat turi rekombinogeninę seką, esančią po splaisingo donoro vietos minėtame pirmame polinukleotide ir prieš splaisingo akceptoriaus vietą minėtame antrajame polinukleotide, ir

kur koduojančios sekos pirmame ir antrame polinukleotide, kai yra sujungtos, koduoja visą otoferlino polipeptido arba jo funkcinio fragmento ilgį.

6. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal 5 punktą, kur minėtas *Otoferlino* genas turi seką SEQ ID Nr. 2 arba SEQ ID Nr. 22.

7. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal 5 punktą, kur minėta *Otoferlino* geno N-galinė dalis yra SEQ ID Nr. 3, ir minėta *Otoferlino* geno C-galinė dalis yra SEQ ID Nr. 23 arba SEQ ID Nr. 4.

8. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-7 punktų, kur minėtos AAV dalelės yra AAV2 serotipo.

9. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-8 punktų, apimanti AAV2 daleles, kuriose kapsidas buvo modifikuotas, pakeičiant tirozino aminorūgščių liekanas į fenilalanino aminorūgščių liekanas.

10. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-9 punktų, kur minėtiems žmonėms pacientams buvo diagnozuotas DFNB9 kurtumas, išmokus kalbėti.

11. Vektorių sistema, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-10 punktų, kur minėti pacientai yra paaugliai arba suaugę žmonės, kenčiantys nuo DFNB9 kurtumo, sukelto termiškai jautrių mutacijų, geriausiai parinktų iš: P.Q994VfsX6, P.I515T, p.G541S, PR1607W, p.E1804del.

12. Farmacinė kompozicija, apimanti mažiausiai dvi AAV daleles, kurių kiekviena turi polinukleotidą, apimantį dalinę kodavimo seką, kuri koduoja i) otoferlino polipeptido N-galinę dalį arba funkcinį jo fragmentą, visų pirma, ir ii) otoferlino polipeptido C-galinę dalį arba jo

funkcinį fragmentą, kita vertus, taip pat farmaciniu požiūriu priimtiną nešiklį, skirtą pacientams, kenčiantiems nuo DFNB9 kurtumo, gydyti arba siekiant užkirsti kelią DFNB9 kurtumui pacientams, turintiems DFNB9 mutacijų, kur minėti pacientai yra žmogus, turintis išsivysčiusią ir subrendusią klausos sistemą, pavyzdžiui, naujagimiai, kūdikiai, maži vaikai, paaugliai ar suaugusieji.

13. Farmacinė kompozicija, skirta naudoti pagal 12 punktą, kur minėta otoferlino geno N-galinė dalis yra SEQ ID Nr. 3, ir minėta otoferlino geno C-galinė dalis yra SEQ ID Nr. 4 arba SEQ ID Nr. 23.

14. Farmacinė kompozicija, skirta naudoti pagal 12 arba 13 punktą, kur minėtos AAV dalelės yra AAV2 serotipo, geriau, kai kapsidas buvo modifikuotas, pakeičiant tirozino aminorūgščių liekanas į fenilalanino aminorūgščių liekanas.

15. Farmacinė kompozicija, skirta naudoti pagal 12, 13 arba 14 punktą, kur minėti pacientai yra paaugliai arba suaugę žmonės, kenčiantys nuo DFNB9 kurtumo, sukelto termiškai jautrių mutacijų, geriausiai parinktų iš: P.Q994VfsX6, P.I515T, p.G541S, PR1607W, p.E1804del.