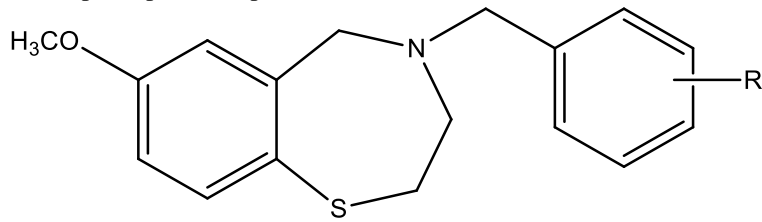


1. Compus reprezentat prin formula structurală (I):



(I)

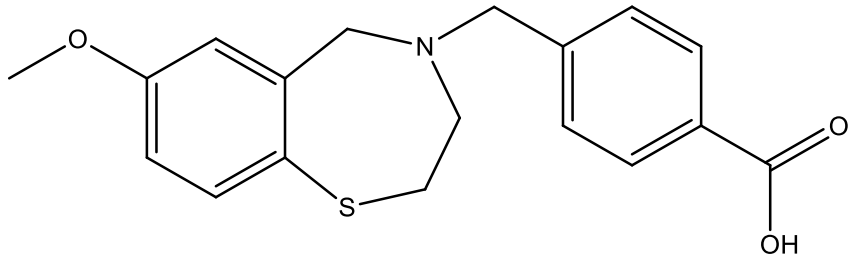
unde R este COOH;

și sărurile sale acceptabile farmaceutic.

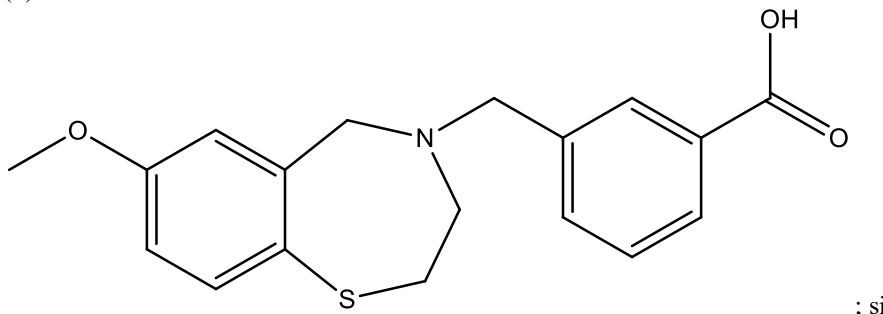
2. Compus, conform revendicării 1, sub formă de o sare cu un acid sau o bază acceptabilă farmaceutic.

3. Compus, conform revendicării 2, unde sarea este selectată din grupul ce constă din sodiu, potasiu, magneziu, hemifumarat, hidrociorură și hidrobromură, de preferință, unde sarea este de sodiu sau hemifumarat.

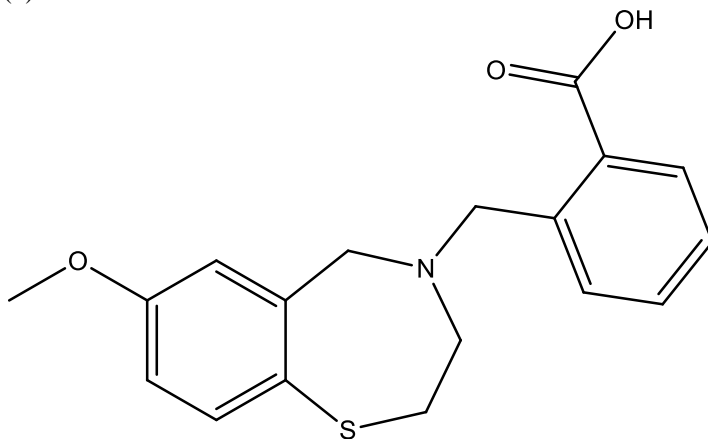
4. Compus, conform revendicării 1, care este selectat din grupul ce constă din:



(1)

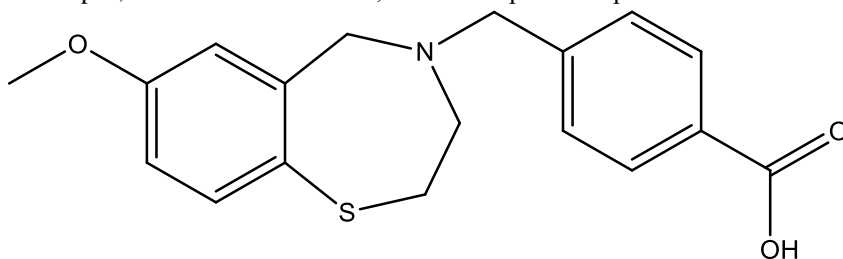


(4)



(6)

5. Compus, conform revendicării 1, care este reprezentat prin formula structurală (1):



(1)

sau sărurile sale acceptabile farmaceutic.

6. Compus, conform revendicării 5, sub formă de o sare cu un acid sau o bază acceptabilă farmaceutic.

7. Compus, conform revendicării 6, unde sarea este selectată din grupul ce constă din sodiu, potasiu, magneziu, hemifumarat, hidrocilorură și hidrobromură.

8. Compus, conform revendicării 7, unde sarea este sare de sodiu.

9. Compus, conform revendicării 7, unde sarea este sare de hemifumarat.

10. Compoziție farmaceutică care cuprinde un compus, conform oricăreia dintre revendicările 1-9, în combinație cu unul sau mai mulți excipienți sau purtători acceptabili farmaceutic.

11. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10, pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea unei stări selectate din grupul ce cuprinde tulburări și boli cardiace, oboseală musculară, tulburări și boli musculoscheletice, tulburări și boli ale SNC, disfuncții cognitive, tulburări și boli neuromusculare, tulburări și boli osoase, cașexie legată de cancer, hipertermie malignă, diabet, moarte cardiacă subită și sindromul morții subite a sugarului sau pentru îmbunătățirea funcției cognitive.

12. Metodă de tratare sau prevenire a unei stări selectate din grupul ce cuprinde tulburări și boli cardiace, oboseală musculară, tulburări și boli musculoscheletice, tulburări și boli ale SNC, disfuncții cognitive, tulburări și boli neuromusculare, tulburări și boli osoase, cașexie legată de cancer, hipertermie malignă, diabet, moarte cardiacă subită și sindromul morții subite a sugarului sau pentru îmbunătățirea funcției cognitive, metoda cuprinde etapa de administrare unui subiect, care are nevoie de aceasta, a unei cantități eficiente terapeutic de un compus conform oricăreia dintre revendicările 1-9 sau de o compoziție farmaceutică conform revendicării 10.

13. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea unei stări conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde starea este asociată cu o funcție anormală a receptorului rianodinei 1 (RyR1), a receptorului rianodinei de tip (RyR2), a receptorului rianodinei de tip 3 (RyR3) sau o combinație a acestora.

14. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea unei stări conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde tulburările și bolile cardiace sunt selectate din grupul ce cuprinde tulburări și boli ale băților neregulate ale inimii, cum sunt tulburări și boli ale băților neregulate selectate din grupul ce cuprinde aritmie atrială și ventriculară, fibrilație atrială și ventriculară, tahiaritmie atrială și ventriculară, tahicardie atrială și ventriculară, tahicardie ventriculară polimorfă catecolaminergică (TVPC) și variantele acestora induse prin efort fizic; tulburări și boli ale băților neregulate ale inimii induse prin efort fizic; insuficiență cardiacă; insuficiență cardiacă congestivă; insuficiență cardiacă cronică; insuficiență cardiacă acută; insuficiență cardiacă sistolică; insuficiență cardiacă diastolică; insuficiență cardiacă acută decompensată; leziune ischemică/de reperfuzie (I/R) cardiacă; boală pulmonară obstructivă cronică; leziune I/R ca urmare a angioplastiei coronariene sau ca urmare a trombolizei pentru tratamentul infarctului miocardic (IM) și hipertensiune arterială.

15. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizare în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde oboseala musculară este cauzată de o boală, tulburare sau stare a mușchilor scheletici.

16. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde boala, tulburarea sau starea musculoscheletică este selectată din grupul ce cuprinde oboseala musculară scheletică indusă de efort fizic; oboseala musculară indusă de efort fizic prelungit sau efort fizic de intensitate înaltă; miopatia congenitală; distrofia musculară, cum este distrofia musculară Duchenne (DMD), distrofia musculară Becker (DMB), distrofia musculară la nivelul membrelor-brâu (DMMB), distrofia facio-scapulo-humerală, distrofia musculară miotonică, distrofia musculară congenitală (DMC), distrofia musculară distală, distrofia musculară Emery-Dreifuss și distrofia musculară oculo-faringiană; atrofia musculară spinală (AMS), atrofia musculară spinală și bulbară (AMSB), oboseala musculară legată de vârstă; sarcopenia, boala miezului central; cașexia legată de cancer; tulburările vezicii urinare și incontinența.

17. Compoziție farmaceutică conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde tulburările și bolile SNC sunt selectate din grupul ce cuprinde boala Alzheimer (BA), neuropatie, convulsii, boala Parkinson (BP) și boala Huntington (BH); iar tulburările și bolile neuromusculare sunt selectate din grupul ce cuprinde ataxia spinocerebelară (ASC) și scleroza laterală amiotrofică (SLA, boala Lou Gehrig).

18. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde disfuncția cognitivă este legată de stres sau de vârstă, sau unde funcția cognitivă ce trebuie îmbunătățită este memoria de scurtă durată, memoria de lungă durată, atenția sau învățarea, sau unde disfuncția cognitivă este asociată cu o boală sau tulburare selectată din grupul ce cuprinde boala Alzheimer (BA), tulburarea de hiperactivitate și deficit de atenție (THDA), tulburarea din spectrul autismului (TSA), tulburarea de anxietate generalizată (TAG), tulburarea obsesiv-compulsivă (TOC), boala Parkinson (BP), tulburarea de stres posttraumatic (TSPT), schizofrenia, tulburarea bipolară și depresia majoră.

19. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde starea este cașexia legată de cancer, preferabil cauzată de o formă de cancer cu metastaze osoase.

20. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde compusul este utilizat într-o doză suficientă pentru a restabili sau îmbunătăți legarea calstabin2 de RyR2.

21. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde compusul este utilizat într-o doză suficientă pentru a restabili sau îmbunătăți legarea calstabin1 de RyR1.

22. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, unde compusul este utilizat într-o doză suficientă pentru a micșora scurgerea Ca^{2+} printr-un canal RyR.

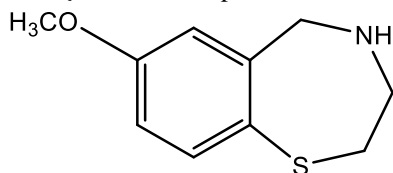
23. Compus, conform oricăreia dintre revendicările 1-9, sau o sare a acestuia, pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea unei stări selectate din grupul ce cuprinde tulburări și boli cardiace, oboseală musculară, tulburări și boli musculoscheletice, tulburări și boli ale SNC, disfuncții cognitive, tulburări și boli neuromusculare, tulburări și boli osoase, cașexie legată de cancer, hipertermie malignă, diabet, moarte cardiacă subită și sindromul morții subite a sugarului sau pentru îmbunătățirea funcției cognitive.

24. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 10 pentru utilizarea în tratamentul sau prevenirea conform revendicării 11, sau metodă conform revendicării 12, cuprinzând în plus utilizarea unei oligonucleotide antisens (OA), care este specifică pentru o secvență de matisare într-un ARNm de interes, pentru sporirea ignorării exonului în ARNm respectiv de interes.

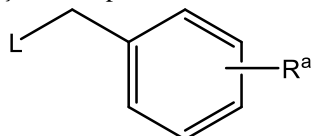
25. Compoziție farmaceutică, conform revendicării 24, pentru utilizarea în tratamentul distrofiei musculare Duchenne (DMD), unde oligonucleotida antisens (OA) este specifică pentru o secvență de matisare a, cel puțin, unui exon al genei *DMD*, de preferință o secvență de matisare a exonului 23, 45, 44, 50, 51, 52 și/sau 53 al genei *DMD*.

26. Metodă de tratare a unui subiect care suferă de distrofie musculară Duchenne (DMD), cuprinzând etapa de administrare subiectului respectiv a unui compus conform oricăreia dintre revendicările 1-9, sau o compoziție farmaceutică conform revendicării 10, în combinație cu o oligonucleotidă antisens (OA) care este specifică pentru o secvență de matisare a, cel puțin, unui exon al genei *DMD*, de preferință o secvență de matisare a exonului 23, 45, 44, 50, 51, 52 și/sau 53 al genei *DMD*.

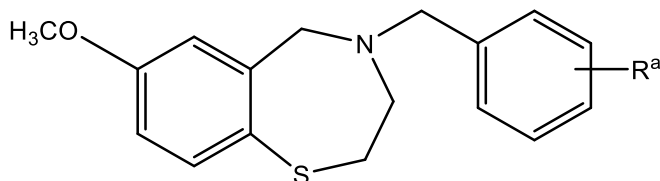
27. Procedeu de preparare a unui compus conform oricăreia dintre revendicările 1-9, cuprinzând etapa de conducere a reacției dintre compusul cu formula structurală:



și un compus cu formula structurală:



unde R^a este COOR^1 sau CN , R^1 este un alchil $\text{C}_1\text{-C}_4$ și L este o grupă înlocuibilă pentru a se obține un compus cu formula structurală:



și transformând gruparea R^a în gruparea R pentru a se obține un compus cu formula structurală (I).