Ensaios Clínicos para os Tipos C e D

Programa	Promotor	Designação	Localização ensaio	Modo de Administração	Fase de Desenvolvimento	Observações	+ Informação (clinical trial.gov)
Medicamento antiinflamatório (já aprovado para a artrite reumatóide) para tipos C e D	Lundquist Institute for Biomedical Innovation : > 4 anos	Medicamento Anakinra (para todos os tipos 4 de Sanfilippo) - Fase II/III: > 4 anos	EUA, California	Injeção subcutânea de medicamento, uma vez por dia	Estudo mais pequeno concluído. Previsto estudo maior, pendente.	O ensaio da fase I/II envolve a injecção subcutânea do medicamento anti-inflamatório Anakinra uma vez por dia. Melhorias de sintomas têm sido sugeridos, relativamente ao nível da melhoria da qualidade de vida. Resultado aqui: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38907160/	NCT04018755
Terapia génica para o tipo C	Phoenix Nest, Inc.		Pendente		A recrutar para o Estudo da História Natural em França, Lyon	Em Novembro de 2018, a Phoenix Nest Inc. adquiriu os direitos para uma terapia génica para Sanfilippo tipo C desenvolvido pelo Dr. Brian Bigger na Universidade de Manchester. A abordagem utiliza um AAV vector para entregar uma cópia saudável do gene defeituoso em Sanfilippo tipo C - Hgsnat. Um ensaio clínico está a ser planeado, mas são necessários mais testes pré-clínicos e a data de início é desconhecida. Atualmente está a recrutar para o Estudo da História Natural, em França, Lyon.	NCT05825131
Terapia de substituição enzimática para tipo D	Phoenix Nest, Inc.	Pendente	EUA, NY	Intratecal	A recrutar para o Estudo da História Natural (NHS).	Phoenix Nest Inc. licenciou uma terapia de substituição enzimática (ERT) da Dra. Patricia Dickson. (Lundquist Institute). Esta terapia foi concebida para fornecer a enzima que falta no Sanfilippo Tipo D, GNS, de forma intratecal. No final de 2021, Phoenix Nest recebeu financiamento do NIH para a realização de um estudo de História Natural para Sanfilippo tipo D. Os dados serão recolhidos de doentes vivos e falecidos de tipo D em todo o mundo e irá fornecer informações sobre sintomas e trajectória da doença que podem ser utilizadas para comparação em ensaios clínicos futuros ao testar terapias.	NCT05648851