

Ensaio Clínicos para o Tipo B

| Programa | Promotor | Designação | Localização ensaio | Modo de Administração | Fase de Desenvolvimento | Observações | + Informação |
|--|---|---|---|---|-----------------------------------|---|---|
| Terapia Génica | Abeona Therapeutics, Inc | Ensaio (Estudo Transpher B - Fase I/II (AAV9) | EUA , França, Alemanha e Espanha | Injeção intravenosa única (na corrente sanguínea) | Em recrutamento | 9 pacientes Sanfilippo Tipo B foram tratados até ao momento. A terapia afigura ser segura. Foi relatada redução do sulfato de heparano na urina e no líquido cefalorraquidiano (LCR), bem como redução do tamanho do fígado e do baço. Ainda não estão disponíveis informações completas sobre a função cognitiva, embora haja sinais promissores observados em crianças mais novas. O estudo está em curso, mas sem recrutamento no momento. Em nov. 2020 (Sanfilippo Suisse conf.) 22 crianças foram tratadas com diferentes níveis de dosagem. O sulfato de heparano diminuiu no LCR para níveis normais, e o fígado/baço reduziu pra dimensões normais. Níveis de audição melhorada. Aumento do volume (gray matter) no cérebro, sugere melhoria cognitiva_atrofia cerebral estabilizada. Melhoria do sono e comportamento. Nos casos onde foi aplicada a dose mais elevada, observaram-se sinais de estabilização cognitiva (nas crianças mais novas) no entanto aguardamos mais evidências. Foram observados efeitos secundários, resultado da invasividade da terapia (9 crianças foram descontinuadas do estudo). | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03315182 |
| Terapia de substituição enzimática | Allievex (ex programa da Biomarin) | Ensaio para tipo B utilizando Trolesinidase Alfa - Fase I/II. AX250 | Colombia, Alemanha, Espanha, Taiwan, Turquia, EUA e Reino Unido | Administração semanal diretamente no líquido cefalorraquidiano (LCR) do cérebro, através de um catéter implantado sob o couro cabeludo. | Em curso - recrutamento concluído | | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02754076 |
| Medicamento antiinflamatório (já aprovado para a artrite reumatóide) | Lundquist Institute for Biomedical Innovation | Medicamento Anakinra (para todos os tipos 4 de Sanfilippo) - Fase II/III. | EUA | Injeção subcutânea de medicamento, uma vez por dia | Em curso - recrutamento concluído | Sem divulgação de resultados. | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04018755 |