

Ensaio Clínico para o Tipo B

Programa	Promotor	Designação	Localização ensaio	Modo de Administração	Fase de Desenvolvimento	Observações	+ Informação (clinical trial.gov)
Terapia de substituição enzimática	Spruce Biosciences (ex programa da Biomarin: ex- Allievex)	Ensaio para tipo B utilizando Trolesinidase Alfa - Fase I/II. Ex- 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.	Completo. Fechado. Spruce Biosciences comprou o programa à empresa Allievex. Programa Early Access Treatment nos EUA.	O ensaio da fase I/II envolve uma terapia de substituição enzimática para Sanfilippo tipo B chamada Trolesinidase Alfa, administrada semanalmente no CSF através de um cateter. Os níveis de sulfato de heparano diminuíram, e a estabilização ou melhoria do desenvolvimento cognitivo tem sido observado em crianças mais novas. Os efeitos secundários foram relacionados com o modo de administração da terapia. A terapia está pendente de aprovação pelos reguladores (FDA). A Spruce Biosciences abriu um Programa de Acesso Precoce (EAP) que proporciona acesso à trolesinidase alfa (TA) por via intracerebroventricular (ICV) a participantes com mucopolissacaridose tipo IIIB. Serão recrutados aproximadamente 10 participantes em, no máximo, 3 centros nos EUA, que serão tratados com TA uma vez por semana através de infusão intracerebral (ICV) durante um período de até aproximadamente 52 semanas, ou até que o TA se torne comercialmente disponível.	NCT07733856
Terapia de substituição enzimática	JCR Pharmaceuticals	Terapia enzimática de substituição - Fase I/II - JR 446	Japão	Injeção intravenosa	A recrutar (Japão) Fase I/II	A empresa japonesa JCR Pharmaceuticals iniciou um ensaio clínico, com JR-446 em pacientes com Sanfilippo tipo B. JR-446 é uma terapia de substituição enzimática (ERT) que foi concebida para atravessar a barreira hemato-encefálica para entregar a enzima ao cérebro e pode ser administrada por via intravenosa, potencialmente tratando mais eficazmente os sintomas neurológicos do Sanfilippo com menos efeitos secundários. Dados de modelos animais Sanfilippo mostraram que a injeção intravenosa de JR-441 aumentou níveis de enzimas no cérebro e reduziu o sulfato de heparano a níveis quase normais. Um medicamento semelhante, JR-141, está agora aprovado no Japão para tratar a Síndrome de Hunter, uma forma de mucopolissacaridose (MPS II) como Sanfilippo. A empresa japonesa JCR Pharmaceuticals iniciou um ensaio clínico, com JR-446 em pacientes com Sanfilippo tipo B.	clinical_development@jcr-pharm.com
Terapia de substituição enzimática	JCR Pharmaceuticals	Terapia enzimática de substituição - Fase I/II - JR 446	EUA (Califórnia, Pensilvânia, Virgínia), Alemanha, Reino Unido	Injeção intravenosa	Ativo. Ainda não está a recrutar.	JR-446 é uma terapia de substituição enzimática (ERT) que foi concebida para atravessar a barreira hemato-encefálica para entregar a enzima ao cérebro e pode ser administrada por via intravenosa, potencialmente tratando mais eficazmente os sintomas neurológicos do Sanfilippo com menos efeitos secundários. Dados de modelos animais Sanfilippo mostraram que a injeção intravenosa de JR-441 aumentou níveis de enzimas no cérebro e reduziu o sulfato de heparano a níveis quase normais. Um medicamento semelhante, JR-141, está agora aprovado no Japão para tratar a Síndrome de Hunter, uma forma de mucopolissacaridose (MPS II) como Sanfilippo. Trata-se de um ensaio clínico de Fase II/III do medicamento sujeito a receita médica Epidiolex (uma forma de canabidiol (CBD) sujeito a receita médica). O objetivo deste ensaio clínico é testar o canabidiol na síndrome de Sanfilippo. Os principais objetivos que se pretende responder são: 1) determinar a segurança do canabidiol na síndrome de Sanfilippo e 2) explorar a eficácia do canabidiol no tratamento dos sintomas neurocomportamentais e dos resultados funcionais da síndrome de Sanfilippo.	NCT07640984
Estudo de Canabidiol em síndrome de Sanfilippo (Epidiolex)	Lundquist Institute for Biomedical Innovation (UCLA Califórnia)	Oral - Epidiolex (para todos os tipos 4 de Sanfilippo) - Fase II/III	EUA, Califórnia	Oral	Ativo. A recrutar.		NCT06333041