Ensaios Clínicos para os Tipos C e D

Programa	Promotor	Designação	Localização ensaio	Modo de Administração	Fase de Desenvolvimento	Observações	+ Informação
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	Injeção subcutânea de medicamento, uma vez por dia	Ativo, Recrutamento concluído	O ensaio da fase I/II envolve a injecção subcutânea do medicamento anti-inflamatório Anakinra uma vez por dia. Recrutamento e análise de dados estão em curso. Algumas melhorias de sintomas têm sido sugeridos pelos pais.	NCT04018755
Terapia génica para o tipo C	Phoenix Nest, Inc.		Pendente		Pendente	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.	
Terapia de substituição enzimática para tipo D	Phoenix Nest, Inc.	Pendente	Pendente	Intratecal	Pendente	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.	