

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	Allievex (ex programa da Biomarin) : >0 aos 18 anos	Ensaio para tipo B utilizando Tralesinidase 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.	Completo. Fechado. Empresa foi considerada insolvente, Pendente.	<p>O ensaio da fase I/II envolve uma terapia de substituição enzimática para Sanfilippo tipo B chamada Tralesinidase Alfa, administrada semanalmente no CSF através de um cateter.</p> <p>Os níveis de sulfato de heparano diminuíram, e a estabilização ou melhoria do desenvolvimento cognitivo tem sido observada em crianças mais novas.</p> <p>Os efeitos secundários foram relacionados com o modo de administração da terapia. A terapia está pendente de aprovação pelos reguladores (FDA).</p> <p>O ensaio da fase I/II envolve a injeção 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/</p> <p>A empresa japonesa JCR Pharmaceuticals iniciou um ensaio clínico, com JR-446 em pacientes com Sanfilippo tipo B.</p> <p>JR-446 é uma terapia de substituição enzimática (ERT) que foi concebida para atravessar a barreira hematoencefálica 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.</p> <p>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.</p> <p>Um medicamento semelhante, JR-141, está agora aprovado no Japão para tratar a Síndrome de Hunter, uma forma de mucopolissacaridose (MPS) como Sanfilippo.</p>	NCT02754076
Medicamento antiinflamatório (já aprovado para a artrite reumatóide)	Lundquist Institute for Biomedical Innovation: > 4 anos	Medicamento Anakinra (para todos os tipos 4 de Sanfilippo) - Fase II/III.	EUA, California	Injeção subcutânea de medicamento, uma vez por dia	Estudo mais pequeno concluído. Previsto estudo maior, pendente.	<p>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/</p> <p>A empresa japonesa JCR Pharmaceuticals iniciou um ensaio clínico, com JR-446 em pacientes com Sanfilippo tipo B.</p> <p>JR-446 é uma terapia de substituição enzimática (ERT) que foi concebida para atravessar a barreira hematoencefálica 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.</p> <p>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.</p> <p>Um medicamento semelhante, JR-141, está agora aprovado no Japão para tratar a Síndrome de Hunter, uma forma de mucopolissacaridose (MPS) como Sanfilippo.</p>	NCT04018755
Terapia de substituição enzimática	JCR Pharmaceuticals	Terapia enzimática de substituição	Japão	Injeção intravenosa	A recutar (Japão) Fase I/II	<p>JR-446 é uma terapia de substituição enzimática (ERT) que foi concebida para atravessar a barreira hematoencefálica 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.</p> <p>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.</p> <p>Um medicamento semelhante, JR-141, está agora aprovado no Japão para tratar a Síndrome de Hunter, uma forma de mucopolissacaridose (MPS) como Sanfilippo.</p>	
Terapia de substituição enzimática	Denali Therapeutics	Terapia enzimática de substituição - Planeado sem data	Pendente	Pendente	Pendente	<p>Denali Therapeutics tem uma terapia de substituição enzimática para Sanfilippo tipo B em preparação e planeia preparar-se para um ensaio clínico no futuro. A sua tecnologia ERT, que também está para Sanfilippo tipo A, foi concebida para atravessar a barreira hematoencefálica para entregar a enzima ao cérebro e pode ser entregue por via intravenosa, potencialmente tratando os sintomas neurológicos do Sanfilippo de forma mais eficaz.</p>	