

Data de atualização dos dados - abril/2026



FARMACÊUTICA	ESTÁGIO	PRINCÍPIO ATIVO	TIPO DE ABORDAGEM	DESCRIÇÃO	INFORMAÇÕES PARA INVESTIDORES	CLINICAL TRIAL
<b>JAGUAR GENE THERAPY (EUA)</b>	Fase I (Início maio/2025- O primeiro ensaio clínico em humanos com JAG201 está dentro do cronograma e 3 crianças já receberam a dose com segurança, sem nenhuma preocupação relacionada ao tratamento até o momento.	JAG201	TERAPIA GÊNICA	Restaurar a função genética adequada do gene SHANK 3 através do vetor AAV9.	<a href="https://tracxn.com/d/companies/jaguar-gene-therapy/_dq5S4BERZkEGB5eovWfK1nzqk8XvrvUjhiteuMMtTZrk/funding-and-investors">https://tracxn.com/d/companies/jaguar-gene-therapy/_dq5S4BERZkEGB5eovWfK1nzqk8XvrvUjhiteuMMtTZrk/funding-and-investors</a>	<a href="https://clinicaltrials.gov/study/NCT06662188?cond=SHANK3%20Haploinsufficiency&amp;term=JAG201&amp;rank=1">https://clinicaltrials.gov/study/NCT06662188?cond=SHANK3%20Haploinsufficiency&amp;term=JAG201&amp;rank=1</a>
<b>NEUREN PHARMACEUTICALS (AUSTRALIA)</b>	Koala é um ensaio clínico de Fase 3, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, que avalia a segurança e a eficácia do NNZ-2591 em 160 crianças de 3 a 12 anos SPM. Um período de triagem de até 4 semanas é seguido por tratamento com NNZ-2591 ou placebo por 13 semanas. O ensaio está atualmente recrutando participantes nos EUA .	NNZ-2591	CONECTIVIDADE DE CÉLULAS NEURONAIS	Análogo sintético experimental do ciclo-glicil-prolina (cGP) que resulta da decomposição do fator de crescimento semelhante à insulina humana 1 (IGF-1). Ele também é testado para outras síndromes (Angelman, Pit Ropkins, Prader Willi) Já comercializa outro produto da NEUREN (DAYBUE) para Síndrome de Rett.	<a href="https://www.neurenpharma.com/investors/dashboard">https://www.neurenpharma.com/investors/dashboard</a>	<a href="https://www.neurenpharma.com/science/nnz-2591published-studies-presentations/nnz-2591-in-phelan-mcdermid-syndrome2">https://www.neurenpharma.com/science/nnz-2591published-studies-presentations/nnz-2591-in-phelan-mcdermid-syndrome2</a>  Study Details   NCT07281079   A Study of NNZ-2591 in Pediatric Participants With Phelan-McDermid Syndrome   ClinicalTrials.gov  O programa de SPM para o NNZ-2591 recebeu as designações Fast Track do FDA.
<b>PYC THERAPEUTICS (AUSTRALIA)</b>	Pré-clínica (final em dezembro 2024) Início trial humano em 2026	PYC-002	ASO	O PYC-002 busca restaurar a produção da proteína SHANK3. Os oligonucleotídeos-antisense (ASOs) ligam-se especificamente à sequência do RNA alvo e modulam a expressão proteica.	<a href="https://pyctx.com/investors">https://pyctx.com/investors</a>	
<b>IOZ BIOTECH (BRASIL)</b>	Início da fase pré-clínica em 2026		TERAPIA GÊNICA	Restaurar a função genética adequada do gene SHANK 3 através do vetor zika vírus.	Aguarda investidor	
<b>NeuroNOS, subsidiária da Beyond Air e (EUA) e XTL Biopharmaceuticals</b>	Pré-clínico  Os primeiros dados em humanos são esperados para 2026. FDA dos EUA concedeu a Designação de Medicamento Órfão (ODD) à sua principal terapia experimental em 21 de abril 2025	BA-102	INIBIÇÃO DA ATIVIDADE DA nNOS	A inibição da atividade da nNOS reduz o estresse nitrosativo no cérebro e reverte fenótipos semelhantes aos do TEA	<a href="https://www.beyondair.net/investors">https://www.beyondair.net/investors</a>	<a href="https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S1089860323000836?via%3Dihub">https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S1089860323000836?via%3Dihub</a>
<b>USP - GENOMA (BRASIL)</b>			TERAPIA POR REGULAÇÃO EM CIS, CRISPRa	Aumentar a expressão da cópia saudável de SHANK3, sem modificar o DNA	Aguarda investidor	
<b>AMO PHARMA (INGLATERRA)</b>	Estudo publicado em dezembro/2024 do AMO-01 na Escola de Medicina Icahn no Monte Sinai, em Nova York, em pacientes com TPM de 12 a 45 anos, que também têm epilepsia	AMO-01	INIBIDOR DA VIA Ras-ERK	A via Ras-ERK está implicada na fisiopatologia da geração de convulsões e nos sintomas neurocomportamentais na SPM.	Em 2015, a empresa captou US\$ 25 milhões em financiamento de private equity com a Woodford Patient Capital Trust, um investidor líder global.	<a href="https://clinicaltrials.gov/study/NCT03493607?cond=SHANK3&amp;term=amo-01&amp;rank=1">https://clinicaltrials.gov/study/NCT03493607?cond=SHANK3&amp;term=amo-01&amp;rank=1</a>
<b>AEELIS FARMA (FRANÇA)</b>	Fase pré-clínica para PMS Fase I para Sd de Down  Com base nos resultados da Fase 1/2, a Aelis Farma espera iniciar um estudo multicêntrico internacional de Fase 2 para determinação da dose com o AEF0217, para o tratamento de deficiências comportamentais associadas à síndrome de Down. Esta Fase 2 está prevista para começar em meados de 2025.	AEF0217 & CBI-SSi	INIBIDOR DO RECEPTOR CBI	Originalmente desenvolvido para a síndrome de Down. Para a síndrome de Phelan-McDermid, a Aelis trabalhou num modelo In-Live no contexto de uma colaboração entre vários laboratórios. o ARF0217 também reverteu uma alteração neurológica (hiperatividade cortical), considerada um marcador neurobiológico do autismo. CBI-SSi são novas entidades moleculares (NME) que imitam um mecanismo de defesa natural do cérebro que foi desenvolvido para neutralizar uma hiperatividade do receptor CBI.	<a href="https://www.aelisfarma.com/investors">https://www.aelisfarma.com/investors</a>	

<p><b>ORYZON (ESPANHA)</b></p> <p><b>Será conduzido inicialmente na Espanha como parte das atividades apoiadas pela iniciativa Med4Cure IPCEI da UE, recentemente aprovada.</b></p>	<p>Um novo estudo de Fase II para avaliar o vafidemstat no tratamento da agressividade em pacientes com TEA. HOPE-2 planeja incluir, entre outros, subpopulações de TEA geneticamente definidas, como indivíduos com síndrome de Phelan-McDermid (SPM).</p>	<p>Vafidemstat</p>	<p>VAFIDEMSTAT (ORY-2001) É UMA PEQUENA MOLÉCULA ORAL QUE FOI OTIMIZADA PARA INDICAÇÕES NO SISTEMA NERVOSO CENTRAL (SNC) E QUE ATUA COMO UM INIBIDOR COVALENTE DA ENZIMA EPIGENÉTICA DESMETILASE ESPECÍFICA DE LISINA-1, LSD1 (KDM1A).</p>	<p>Os inibidores da LSD1 demonstraram "reconfigurar" a transcrição neuronal e reverter fenótipos de comportamento social e agressividade em diversos modelos genéticos de TEA (Transtorno do Espectro Autista), incluindo camundongos com deficiência de shank3.</p> <p>Inibidor da LSD1 de administração oral e com capacidade de penetrar na barreira hematoencefálica, da Oryzon.</p>	<p><a href="https://www.oryzon.com/en/investors/information-shareholders-and-investors">https://www.oryzon.com/en/investors/information-shareholders-and-investors</a></p>	
<p><b>NORTHWESTERN UNIVERSITY (EUA)</b></p>	<p>Fase pré-clínica in-live (2022)</p>	<p>JB2</p>	<p>Péptido derivado de IGFBP2, relacionado ao fator de crescimento semelhante à insulina.</p>	<p>Desenvolvido um fragmento peptídico mimético do IGFBP2, JB2, e demonstrado que promove a plasticidade estrutural e funcional basal das sinapses em neurônios.</p>	<p>Bolsa R41MH121140 do Instituto Nacional de Saúde Mental.</p>	
<p><b>ITAY&amp;BEYOND (ISRAEL)</b></p>		<p>Terapias ASO- RNA</p>		<p>Apresentam-se como o primeiro tratamento baseado em RNA para subpopulação de PEA (Síndrome de Phelan-McDermid) publicado como Pedido de Patente PCT.</p> <p>O foco desta empresa foi criar um modelo que permitisse ultrapassar as fases pré-clínicas, utilizando organoides cerebrais integrados com uma interface computacional com IA, que permite simular alterações no comportamento cognitivo resultantes da aplicação de compostos farmacêuticos.</p> <p>O lema é um cérebro num chip, com análise avançada de inteligência artificial, para a descoberta de medicamentos para distúrbios psiquiátricos e neurológicos.</p>		
<p><a href="#">Shenzhen RebornGene Therapeutics (CHINA)</a></p>	<p>Um ensaio clínico de Fase 1/2 está atualmente avaliando a segurança e a eficácia em 8 crianças de 3 a 18 anos.</p>	<p>RB001</p>	<p>TERAPIA GENICA</p>	<p>Administra um minigene SHANK3 otimizado por meio de uma única injeção intracerebroventricular (ICV) para restaurar a expressão da proteína no sistema nervoso central.</p> <p>Utiliza um vetor AAV para fornecer um gene SHANK3 funcional para substituir o gene mutado ou ausente.</p>	<p><a href="https://clinicaltrials.gov/study/NCT07014020">https://clinicaltrials.gov/study/NCT07014020</a></p>	