



# Visão geral da tecnologia J-Brain Cargo®

A JCR é a primeira e única empresa a obter aprovação de uma terapia para MPS II concebida para atravessar a barreira hematoencefálica (BHE) e penetrar no sistema nervoso central (SNC); aprovada no Japão em 2021.

## O que é J-Brain Cargo®?

J-Brain Cargo® é nossa plataforma tecnológica proprietária que nos permite desenvolver terapias que atravessam a BHE e penetram no SNC.

## Por que uma terapia para tratar um distúrbio de armazenamento lisossômico (LSD) precisa atravessar a BHE para ser eficaz?

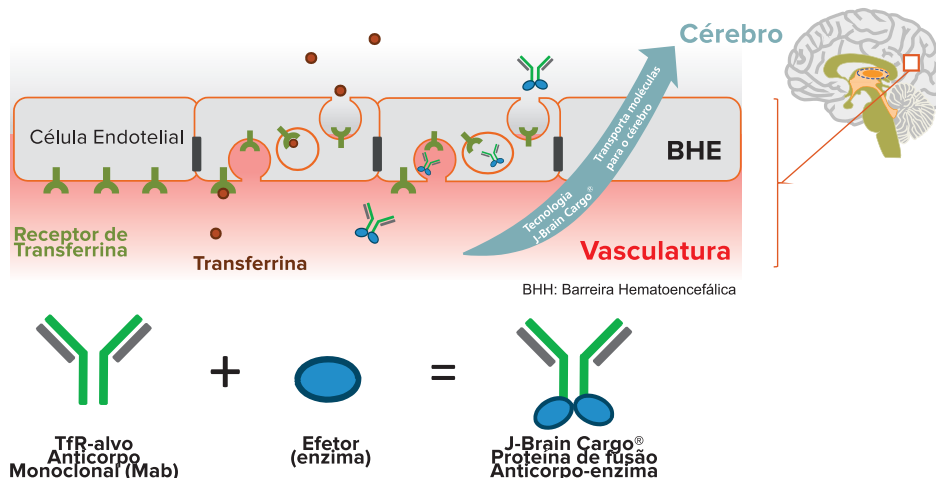
Terapias anteriores para tratar LSDs não foram capazes de atravessar a BHE para penetrar no SNC

- Essas terapias não foram capazes de tratar as complicações do SNC das LSDs. Elas só foram capazes de tratar os sintomas somáticos ou corporais da doença
- As complicações do SNC costumam ser graves, resultando em atrasos do desenvolvimento, afetando a cognição, o comportamento, a memória e, acima de tudo, o prognóstico
- Essas complicações afetam tanto a independência quanto a qualidade de vida dos pacientes e de seus cuidadores

## Como funciona o J-Brain Cargo®?

- O J-Brain Cargo® nos permite desenvolver terapias enzimáticas que penetram o SNC e, assim, tratam sintomas da doença no SNC, além de tratar a doença no resto do corpo.
- As complicações no SNC são frequentemente graves, resultando em atrasos no desenvolvimento, impacto na cognição e, acima de tudo, prognóstico desfavorável, que afetam a independência dos pacientes e sua qualidade de vida.
- A aplicabilidade do J-BrainCargo® para múltiplas modalidades, incluindo AAV (Vírus Adenoassociado), terapias com anticorpos, terapias com ácidos nucleicos e NPL (Nanopartículas Lipídicas), foi confirmada.

## Mecanismo de ação J-Brain Cargo® que carrega a enzima através da barreira hematoencefálica



Material destinado a profissionais de saúde  
Para mais informações, acesse:  
→ [jcrpharm.com.br](http://jcrpharm.com.br) ✉ [sac@jcrpharm.com.br](mailto:sac@jcrpharm.com.br)

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. Todos os direitos reservados



100

95

75

25

5

0

## Como usamos o J-Brain Cargo® para desenvolver terapias para LSDs?

- Somos líderes no desenvolvimento de terapias para LSDs raros e ultra-raros usando nossa plataforma de tecnologia J-Brain Cargo®.
- Estamos desenvolvendo terapias para doenças que não possuem tratamentos aprovados, bem como para doenças onde há necessidade de desenvolver um padrão de tratamento melhor.
- Nós nos esforçamos para expandir as possibilidades para os pacientes acelerando os avanços médicos com foco em nossos programas de pesquisa e desenvolvimento clínico, com quatro programas atualmente em fase clínica.

### Tratamento para MPS



Atualmente, existem algumas **terapias de reposição enzimática** (TREs, que substituem as enzimas defeituosas em pessoas com LSDs) aprovadas pela ANVISA do Brasil para tratar várias formas de Mucopolissacaridose (MPS).<sup>1,2</sup> Além disso, o transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCTH) demonstrou ser uma opção de tratamento para algumas LSDs.

Tratamentos adicionais para MPS concentram-se principalmente no **manejo dos sintomas**. Esses tratamentos podem exigir uma equipe de especialistas, por exemplo, otorrinolaringologistas para ajudar com problemas auditivos, oftalmologistas para ajudar com comprometimento de visão, ortopedistas para ajudar com problemas esqueléticos e assim por diante.<sup>1</sup>

Cirurgias podem ajudar em alguns casos no tratamento de sintomas como a síndrome do túnel do carpo e malformações esqueléticas. Fisioterapia e exercícios também podem ajudar a melhorar a rigidez articular.<sup>1</sup>

**Para saber mais sobre as terapias investigativas para MPS I e II atualmente em desenvolvimento através de ensaios clínicos em todo o mundo, acesse [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov).**

#### Referências:

1. Organização Nacional para Doenças Raras. Mucopolissacaridoses. <https://rarediseases.org/rare-diseases/mucopolysaccharidoses/>. Acessado em 29 de março de 2024.
2. Safary A, Akbarzadeh Khiavi M, Mousavi R, et al. Enzyme replacement therapies: what is the best option? *Bioimpacts*. 2018;8(3):153–57.

Material destinado a profissionais de saúde  
Para mais informações, acesse:  
→ [jcrpharm.com.br](https://jcrpharm.com.br) ✉ [sac@jcrpharm.com.br](mailto:sac@jcrpharm.com.br)  
Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. Todos os direitos reservados

