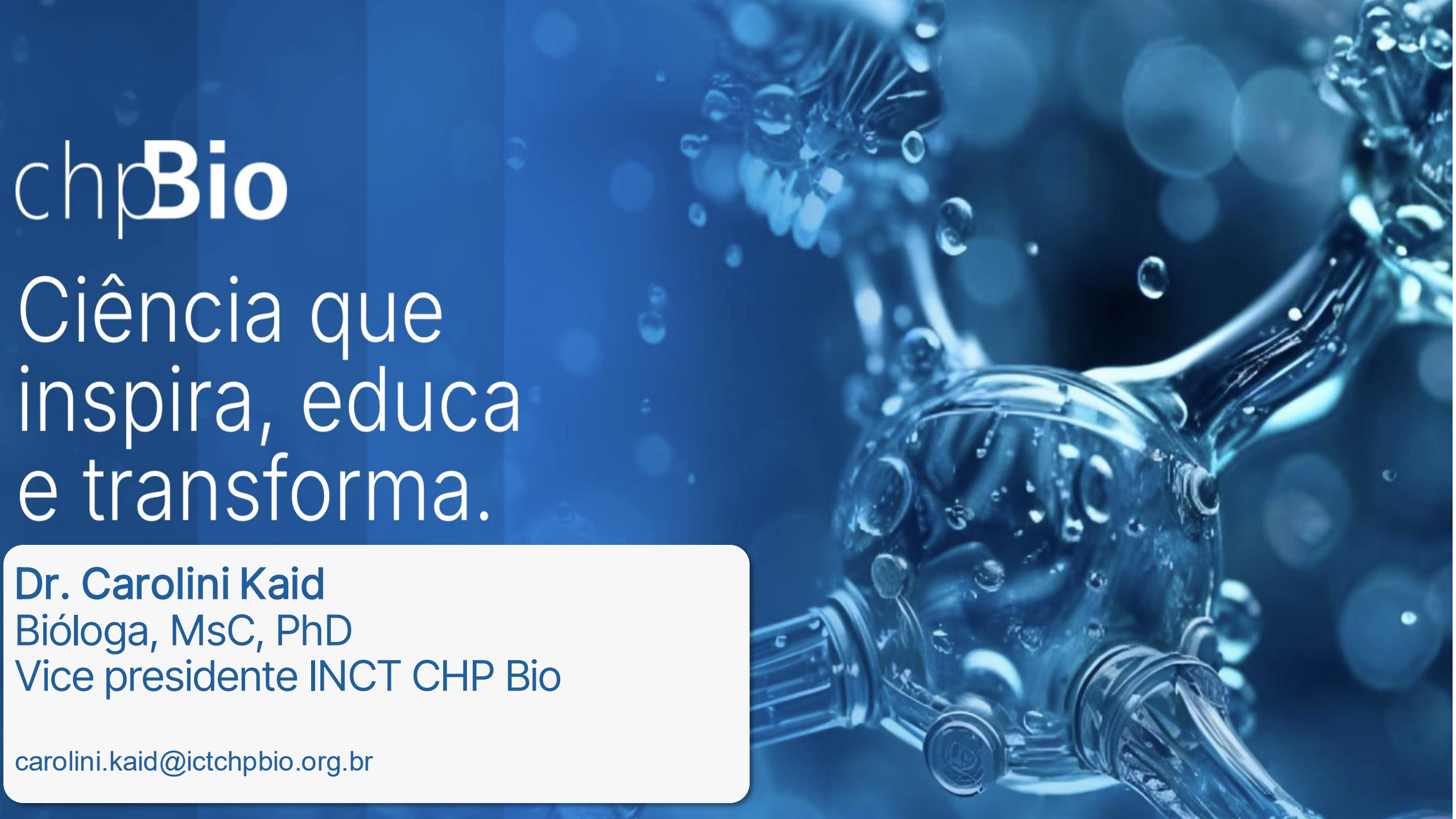




chp**Bio**

Ciência que
inspira, educa
e transforma.

Dr. Carolini Kaid
Bióloga, MsC, PhD
Vice presidente INCT CHP Bio

carolini.kaid@ictchpbio.org.br

O aumento da incidência de tumores cerebrais e outras doenças neurológicas é atribuído ao envelhecimento da população e ao aumento de fatores de risco, como poluição e estresse.

Saúde do Cérebro

Um problema global com prevalência crescente



As doenças neurológicas, incluindo **tumores cerebrais** e **doenças neurodegenerativas**, estão entre os maiores desafios de saúde em todo o mundo, afetando **milhões de pessoas** e sobrecarregando os **sistemas de saúde**.

World Health Organization's 2023 [report on neurological disorders](#)

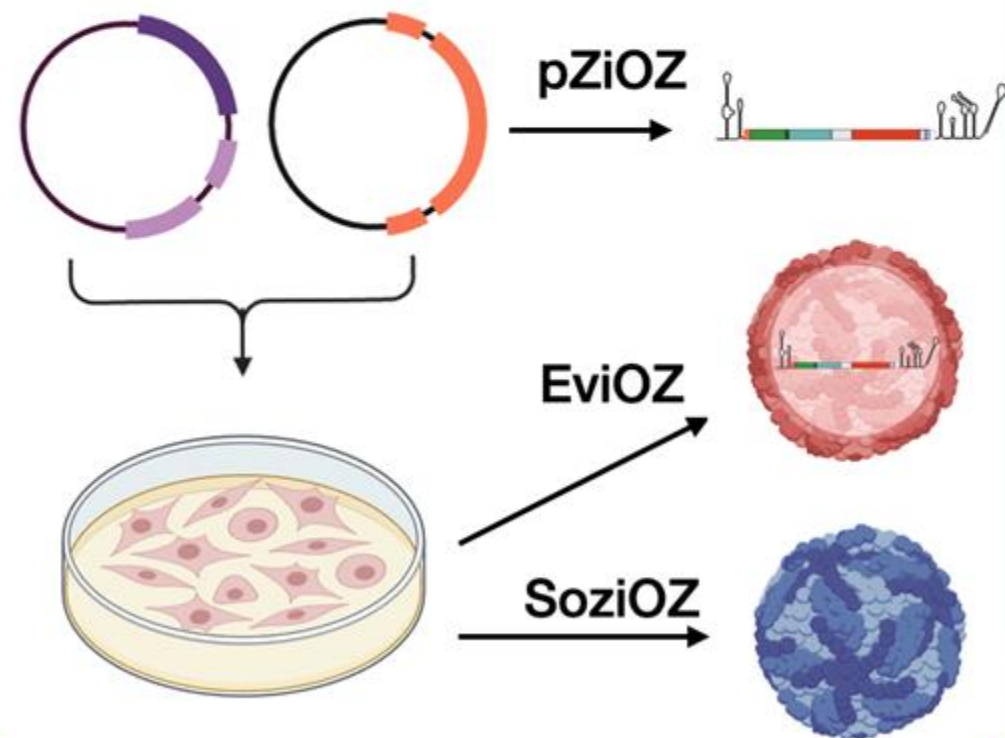


Zika



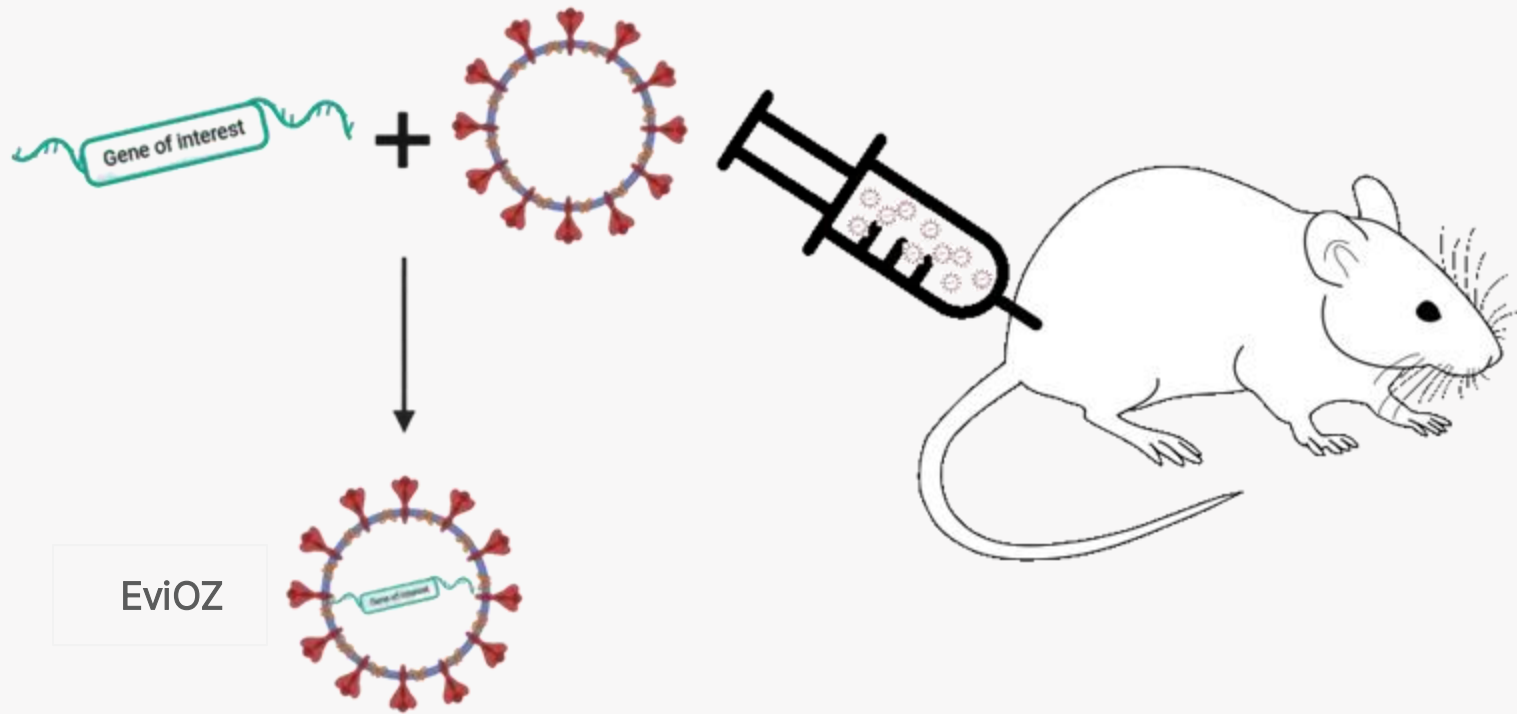
iOZ Platform

Proprietary advanced viral platform created by merging two plasmids.



pZiOZ mRNA

iOZ Platform



EviOZ

Non-replicative viral vector



pZiOZ mRNA

**Entrega seletiva de
drogas para o
cérebro**

Estratégias para condições neurológicas

Flexibilidade do pZiOZ mRNA em entregar um ou mais genes de tamanhos maiores que o classico da tecnologia atual

Terapia de substituição gênica

DEAF1
PMS

Terapia de edição gênica

DEAF1
Parkinson
Alzheimer

E outros ...

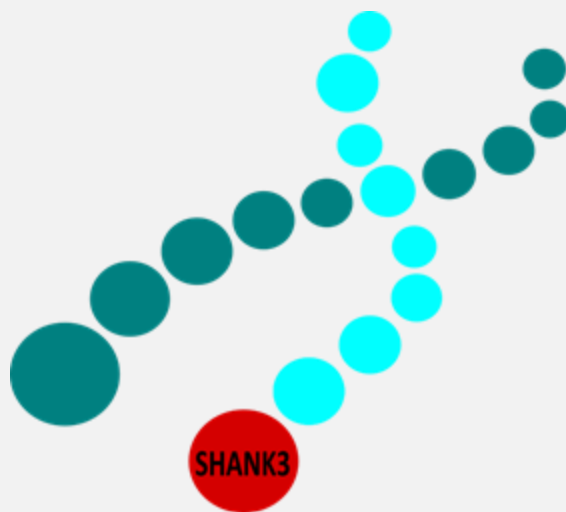


Síndrome de Phelan McDermid (PMS)

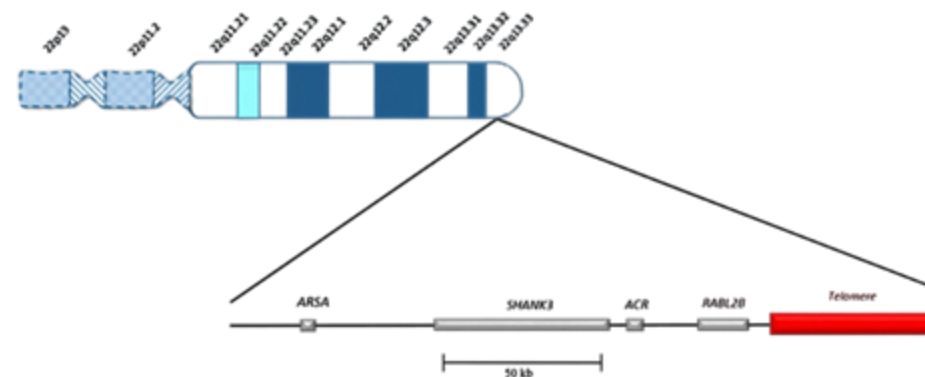
Doença genética rara órfã de drogas.

Estimativa de 270 mil pacientes mundialmente.

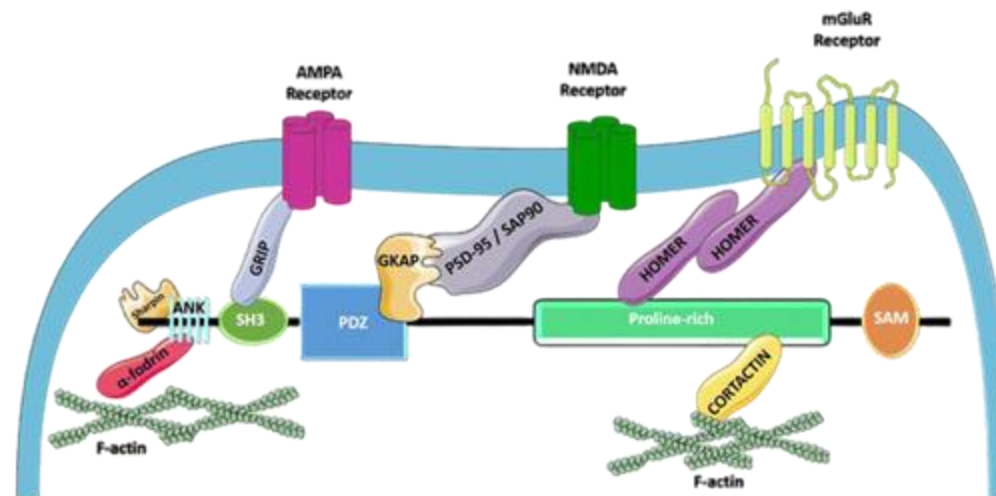
Deleção da região do cromossomo 22 que contém o gene da SH3 *and multiple ankyrin repeat domains 3*



Deleção região do cromossomo 22q13



Proteína SHANK3



Síndrome de Phelan McDermid (PMS)

Haploinsuficiência

Variação do número de cópias de um gene
Diminuição da dosagem de genes



Sintomas neurocomportamentais:

Deficiência Intelectual
Comprometimento da fala
Comprometimento da linguagem
Transtorno do espectro Autista (TEA)
Distúrbios do sono
Epilepsia



NORD®
National Organization
for Rare Disorders

Restauração da expressão de SHANK3 previne sintomas de TEA em camundongos jovens e adultos

Adult restoration of *Shank3* expression rescues selective autistic-like phenotypes

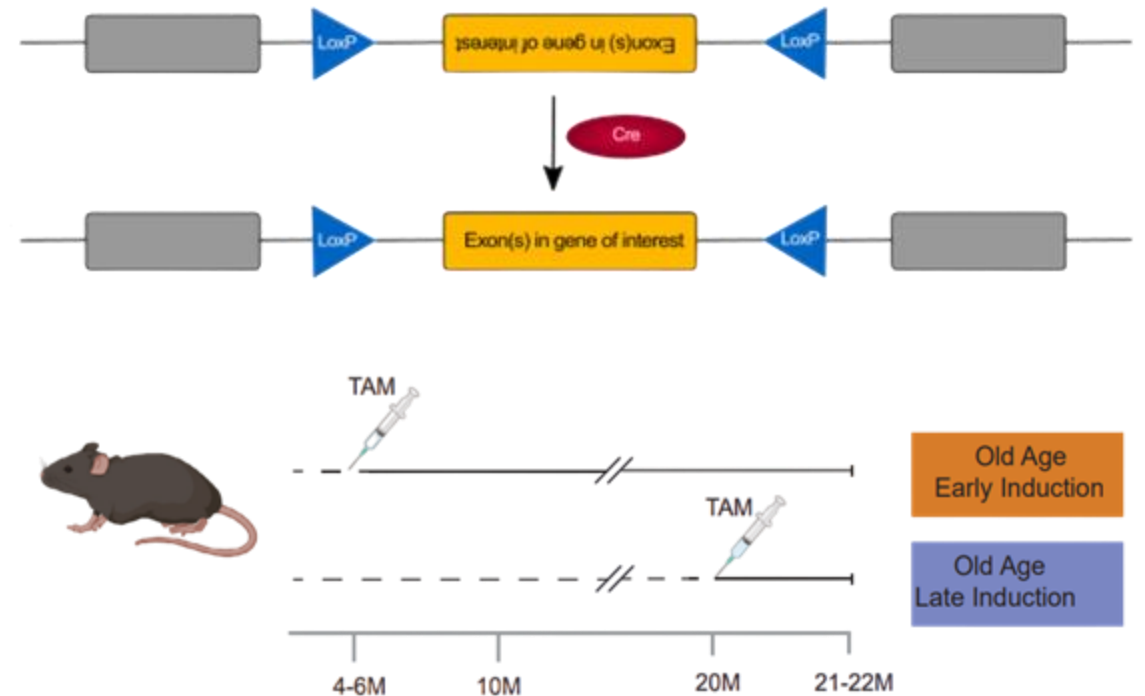
Yuan Mei^{1*}, Patricia Monteiro^{1,2,3*}, Yang Zhou¹, Jin-Ah Kim¹, Xian Gao^{1,4}, Zhanyan Fu^{1,3} & Guoping Feng^{1,3}

Apparent Genetic Rescue of Adult *Shank3* Exon 21 Insertion Mutation Mice Tempered by Appropriate Control Experiments

Haley E. Speed,¹ Mehreen Kouser,¹ Zhong Xuan,¹ Shunan Liu,¹ Anne Duong,¹ and Craig M. Powell^{1,2}

Early Restoration of *Shank3* Expression in *Shank3* Knock-Out Mice Prevents Core ASD-Like Behavioral Phenotypes

Thomas C. Jaramillo,¹ Zhong Xuan,² Jeremy M. Reimers,¹ Christine O. Escamilla,¹ Shunan Liu,¹ and Craig M. Powell^{2,3}



Terapia Gênica para PMS

Reposição gênica do gene SHANK3, através do

pZioz/SHANK3-mRNA

Regressão dos sintomas de TEA em crianças e jovens

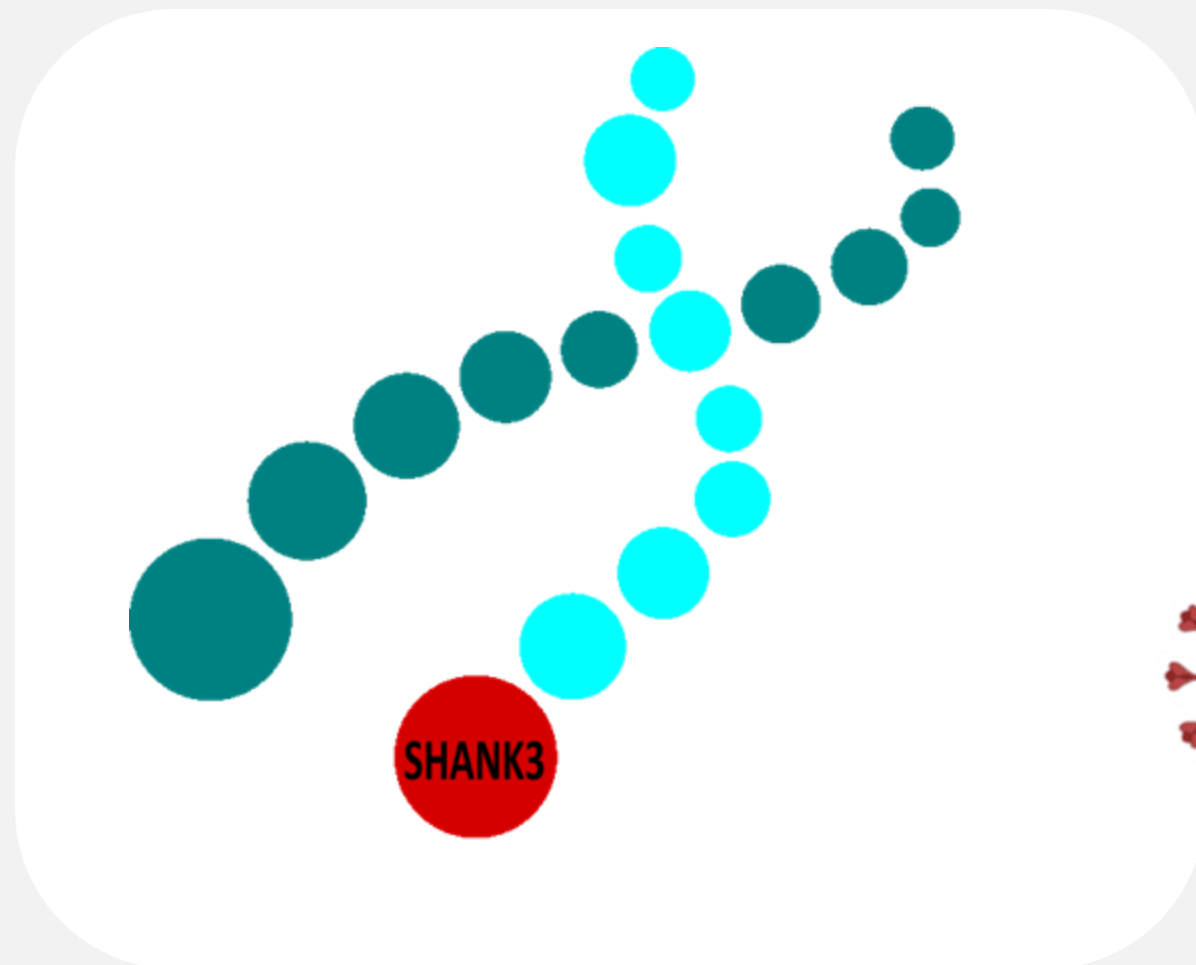


pZioz/SHANK3 mRNA

Tropismo pelo Sistema Nervoso Central (SNC) da

Plataforma Z

Após administração sistêmica, o vetor viral entrega a
terapia gênica ao SNC com altas eficiência



Estudo Clínico de Fase 1 em andamento



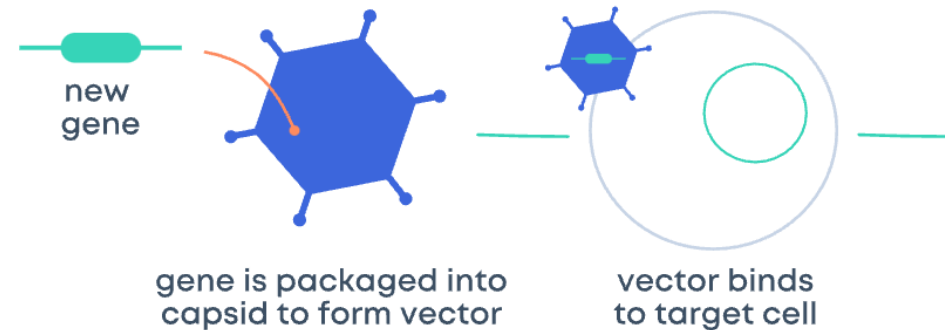
Accelerating breakthroughs in gene therapy.

TOTAL DE INVESTIMENTO - \$139M (745,62 milhões de reais)

INVESTIMENTOS GOVERNAMENTAIS - \$7 MILHÕES DE
DOLARS (37,55 milhões de reais)

Crunchbase.com

AAV-based delivery.



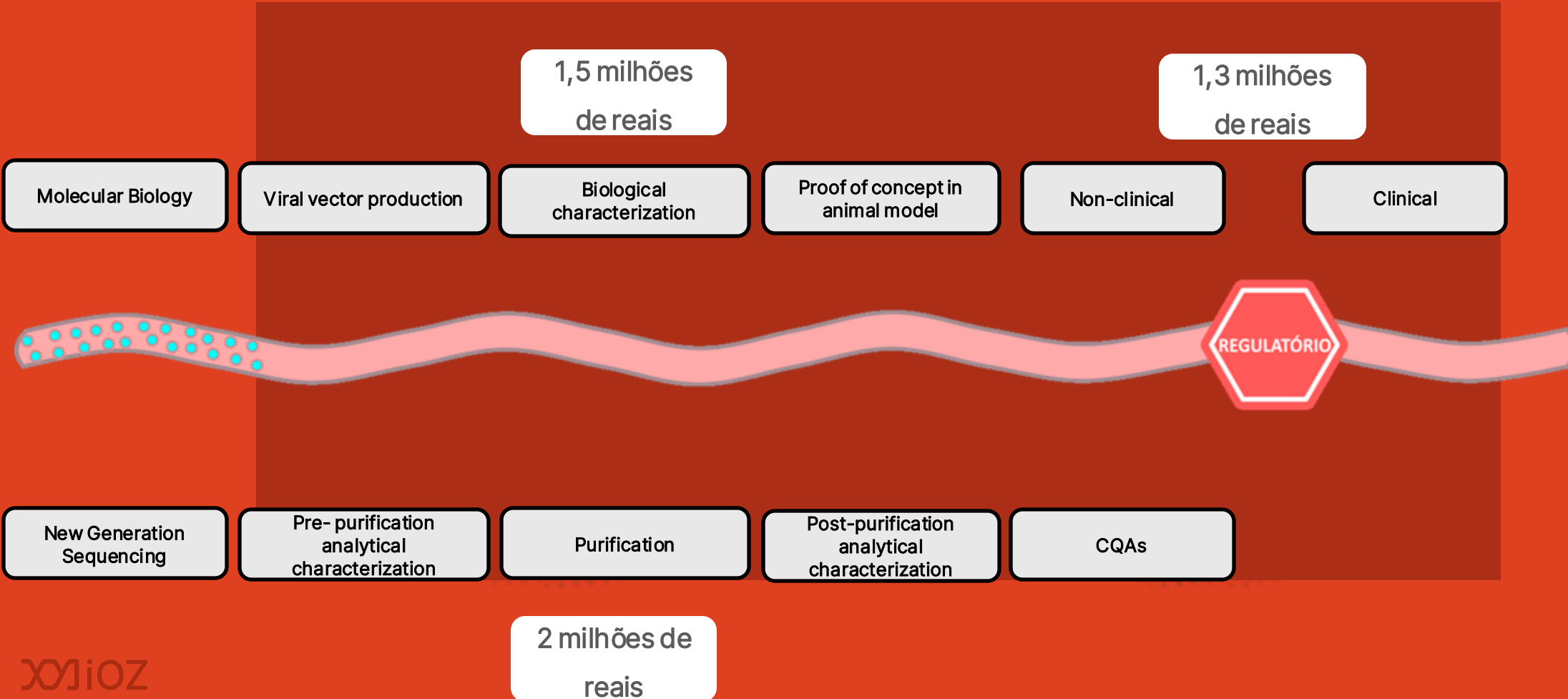
LIMITACOES:

1. Hepatotoxicidade
2. Alto custo
3. Mini gene do SHANK3



Pipeline

iOZ Solutions



Biotech Solutions Through
Viral Intelligence



Parceria



Selective passage of medications
directly to specific regions of the brain

NECESSIDADE:

- Viabilizar **PESQUISA & DESENVOLVIMENTO** através de emendas e programas para desenvolvimento nacional de **terapia genica** para **doenças raras** dentro do modelo **ICT <> Start-up <> Organizações de pacientes.**



OBRIGADA

carolini.kaid@ictchpbio.org.br