

Minoryx Therapeutics reçoit la désignation de médicament orphelin de la Commission Européenne pour le leriglitzone dans le traitement de l'ataxie de Friedreich

Le leriglitzone (MIN-102) est un nouvel agoniste sélectif du PPAR gamma, biodisponible par voie orale et qui pénètre dans le cerveau

Il s'agit de la deuxième désignation de médicament orphelin délivrée par l'Europe pour le leriglitzone, en plus de l'ALD (adrénoleucodystrophie liée à l'X)

Le statut de médicament orphelin offre de nombreux avantages, y compris une aide pour le protocole des essais cliniques, des conseils scientifiques et une exclusivité commerciale

Mataró (Barcelone) Espagne et Charleroi, Belgique, le 12 novembre 2019 – Minoryx Therapeutics, une société spécialisée dans le développement de traitements innovants contre des maladies orphelines du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui que son principal candidat médicament, le leriglitzone (MIN-102), a reçu la désignation de médicament orphelin de la part de la Commission Européenne pour le traitement de l'ataxie de Friedreich.

L'ataxie de Friedreich est une maladie génétique neurodégénérative orpheline sévère, caractérisée par une perte de coordination et de force musculaire. Elle résulte d'une déficience en frataxine qui génère un dysfonctionnement mitochondrial. À l'heure actuelle, on ne peut traiter que les symptômes de la maladie. L'ataxie de Friedreich touche une personne sur 40 000 dans le monde et se déclare entre 5 et 18 ans.

Le leriglitzone (MIN-102) est un nouvel agoniste sélectif du PPAR gamma, biodisponible par voie orale et qui pénètre dans le cerveau. Il est capable d'engager le récepteur cible dans le système nerveux central (SNC). Le potentiel thérapeutique et le mode d'action unique de leriglitzone ont été démontrés dans de nombreux modèles précliniques de maladies du SNC. Ces recherches ont montré un effet anti-oxidant, anti-inflammatoire et neuroprotecteur. Le leriglitzone améliore la fonction et la biogenèse mitochondriales, encourage la remyélinisation, facilite le métabolisme des lipides et retarde la progression de l'atteinte neurologique. Le leriglitzone est en cours de développement clinique avancé dans l'adrénomyélonéuropathie (AMN) et dans l'ataxie de Friedreich (FRDA).

« Après la récente désignation de médicament orphelin de la FDA pour le leriglitzone dans l'ataxie de Friedreich, nous sommes ravis que l'Europe nous accorde également ce statut. Cela conforte le potentiel de ce nouveau candidat médicament et notre engagement à changer la vie des patients souffrant de maladies orphelines graves », souligne Marc Martinell, DG de Minoryx. « Le leriglitzone est notre principal candidat médicament et il est actuellement bien avancé dans son développement clinique dans plusieurs indications graves dans le système nerveux central. Le recrutement des patients est finalisé dans l'essai AMN ainsi que dans l'étude FRDA. Nous avons prévu de présenter nos résultats d'ici fin 2020. »

A propos de leriglitzone

Le leriglitzone (MIN-102) est un nouvel agoniste sélectif du PPAR gamma, biodisponible par voie orale et qui pénètre dans le cerveau. Il est capable d'engager le récepteur cible aux niveaux requis pour être efficace dans le système nerveux central (SNC). Il a démontré son efficacité dans des modèles animaux pour plusieurs pathologies qui déclenchent une réaction en chaîne conduisant à un dysfonctionnement mitochondrial, un stress oxydatif, une

neuroinflammation, une démyélinisation et une dégénérescence axonale. Le leriglitzone pourrait traiter plusieurs maladies du SNC, y compris des maladies orphelines comme l'ALD (adrénoleucodystrophie liée à l'X) et l'ataxie de Friedreich. Une étude de phase 1 a confirmé que le leriglitzone était bien toléré et qu'il était capable de franchir la barrière hémato-encéphalique et d'engager le PPAR gamma dans les maladies du SNC. Il est actuellement testé dans un essai clinique pivot de phase 2/3 d'une durée de deux ans et en double-aveugle contre placebo, pour le traitement d'adultes souffrant d'adrénomyélonéuropathie (AMN). Il est également testé dans un essai de phase 2 d'une durée de un an en double-aveugle contre placebo chez des patients souffrant d'ataxie de Friedreich. Les résultats de ces deux essais sont attendus pour la fin de l'année 2020. Le leriglitzone a reçu la désignation de médicament orphelin pour le traitement de l'ALD et de l'ataxie de Friedreich en Europe et aux États-Unis.

A propos de l'ataxie de Friedreich

L'ataxie de Friedreich est une maladie génétique orpheline sévère, caractérisée par une perte de coordination et de force musculaire qui résulte de la dégénérescence des nerfs due à une anomalie génétique. La maladie se caractérise par une déficience en frataxine qui mène à un dysfonctionnement mitochondrial. Les symptômes vont de l'incapacité à coordonner ses mouvements à une démarche instable avec déséquilibre, faiblesse musculaire et tremblements. Dans les 10 à 15 ans qui suivent le début de la maladie, les patients perdent peu à peu leur capacité à se lever, à s'asseoir et à marcher. L'ataxie de Friedreich raccourcit l'espérance de vie et entraîne des décès précoces, principalement en lien avec l'insuffisance cardiaque. Une personne sur 40 000 est concernée. À l'heure actuelle, il n'existe aucun traitement, seulement des approches symptomatiques.

A propos de la désignation médicament orphelin

La désignation de médicament orphelin en Europe est accordée à des médicaments qui visent à traiter des maladies graves ou handicapantes, et qui ont une prévalence de moins de 5 personnes sur 10 000 dans l'Union Européenne.

En Europe, la désignation de médicament orphelin apporte aux fabricants de médicaments un certain nombre d'avantages, comme l'aide au protocole d'essais cliniques, l'accès à une procédure de mise sur le marché centralisée, 10 ans d'exclusivité commerciale une fois le médicament autorisé et des réductions sur les honoraires réglementaires.

www.ema.europa.eu

A propos de Minoryx Therapeutics

Minoryx est une société de biotechnologie au stade clinique qui développe de nouveaux traitements pour les maladies orphelines du SNC avec un besoin médical fort. Le principal candidat médicament de la société, le leriglitzone (MIN-102), un nouvel agoniste sélectif du PPAR gamma, est en cours d'évaluation dans l'ALD et l'ataxie de Friedreich. La société est financée par un syndicat d'investisseurs expérimentés et bénéficie du soutien d'autres organisations. Basée en Espagne et en Belgique, Minoryx a été fondée en 2011 et a levé au total 50 millions d'euros.

www.minoryx.com

Contacts médias et analystes
Andrew Lloyd & Associates
Juliette dos Santos – Céline Gonzalez
juliette@ala.com / celine@ala.com
Tel: +33 1 56 54 07 00
@ALA_Group