

Minoryx Therapeutics obtient le statut « fast-track » de la FDA pour le leriglitzone dans le traitement de l'ALD

Le leriglitzone (MIN-102), un nouvel agoniste sélectif du PPAR γ qui pénètre dans le cerveau et biodisponible par voie orale, est actuellement en phase de développement avancé pour le traitement de maladies orphelines graves du système nerveux central, y compris l'ALD (adrénoleucodystrophie liée à l'X) et l'ataxie de Friedreich. Il a déjà reçu la désignation de médicament orphelin de l'EMA et de la FDA pour ces deux indications

L'étude pivot ADVANCE chez les patients adultes atteints d'adrénomyéloneuropathie (AMN) est en bonne voie, avec de premiers résultats attendus d'ici fin 2020

Mataró, Barcelone, Espagne et Charleroi, Belgique, le 9 janvier 2020 – 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 obtenu la désignation « fast-track » de la Food and Drug Administration (FDA) américaine pour le traitement de toutes les formes d'adrénoleucodystrophie liée à l'X (ALD), y compris l'adrénomyéloneuropathie (AMN) et l'ALD cérébrale pédiatrique (cALD).

L'essai clinique pivot ADVANCE sur le leriglitzone a finalisé son recrutement, et les principaux résultats sont attendus fin 2020. ADVANCE est une étude de deux ans en double aveugle contre placebo chez des patients adultes atteints d'ALD et souffrant d'adrénomyéloneuropathie (AMN). De plus, l'essai FRAMES de phase 2 du leriglitzone a également terminé son recrutement chez des patients souffrant d'ataxie de Friedreich.

Le programme « fast-track » de la FDA est conçu pour faciliter le développement et accélérer l'étude réglementaire des médicaments destinés à traiter des pathologies graves et à répondre à un besoin médical fort. Un médicament ayant obtenu la désignation « fast-track » peut bénéficier de plusieurs avantages, notamment des réunions et des communications plus fréquentes avec la FDA et, si les critères pertinents sont respectés, la possibilité d'une autorisation de mise sur le marché accélérée et d'un examen prioritaire.

« L'obtention de la désignation 'fast-track' souligne le potentiel unique du leriglitzone pour traiter l'ALD, une maladie neurodégénérative chronique orpheline et potentiellement mortelle pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement efficace », déclare Marc Martinell, Directeur Général de Minoryx. « Nous sommes très satisfaits des progrès réalisés dans le cadre de l'étude pivot ADVANCE chez les patients adultes atteints d'AMN. Nous avons finalisé le recrutement bien avant la date prévue et les patients ont commencé à participer à l'étude de prolongation ouverte. Nous sommes impatients de présenter les principaux résultats d'ici la fin de l'année. »

María Pascual, Directrice des Affaires Règlementaires chez Minoryx, ajoute : « Cette désignation 'fast-track' arrive alors que nous prévoyons de communiquer les résultats clés de l'essai ADVANCE à la fin de l'année 2020 et de soumettre une demande pour un nouveau médicament (« New Drug Application ») aux États-Unis. Nous travaillons en étroite collaboration avec la FDA pour fournir aux patients atteints d'AMN le premier traitement potentiellement efficace et pouvant influencer sur la maladie. »

A propos de l'essai ADVANCE

L'essai ADVANCE est une étude de deux ans, en double aveugle contre placebo, conçue pour déterminer l'efficacité et l'innocuité du leriglitzane avec une étude de prolongation ouverte pour les patients qui terminent la partie en double aveugle de l'essai. L'objectif principal de l'essai clinique est d'évaluer l'efficacité du leriglitzane sur la progression de l'adrénomyélonéuropathie (AMN) chez l'homme, déterminée par un test de la fonction motrice. Au total, l'étude multicentrique compte 116 patients randomisés en Europe et aux Etats-Unis. Les principaux résultats sont attendus pour la fin 2020.

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03231878?term=minoryx&draw=2&rank=2>

A propos de l'essai FRAMES

L'essai FRAMES est une étude multicentrique et randomisée d'un an, en double-aveugle contre placebo, qui vise à évaluer l'efficacité et l'innocuité du leriglitzane chez les patients souffrant d'ataxie de Friedreich, âgés de 12 à 60 ans. L'objectif principal de l'essai consiste à évaluer l'effet du candidat médicament sur la progression de la maladie. Cet effet sera mesuré par imagerie de pointe de la moëlle épinière. Au total, 39 patients ont été randomisés dans cette étude dans des centres en Europe. Les résultats principaux sont attendus pour la fin 2020.

<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03917225?term=minoryx&draw=2&rank=1>

A propos du leriglitzane

Le leriglitzane (MIN-102) est un nouvel agoniste sélectif du PPAR γ , 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 leriglitzane 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 leriglitzane était bien toléré et qu'il était capable de franchir la barrière hémato-encéphalique et d'engager le PPAR γ 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 souffrants 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 souffrants d'ataxie de Friedreich. Les résultats de ces deux essais sont attendus pour la fin de l'année 2020. Le leriglitzane 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'ALD

L'ALD est la maladie peroxysomale la plus répandue. Elle est causée par des mutations dans le gène ABCD1. Son incidence est estimée à 1:17 000 nouveau-nés dans le monde. Bien qu'elle touche principalement les hommes, les femmes hétérozygotes peuvent également développer la maladie plus tard dans leur vie. L'ALD est caractérisée par l'accumulation d'acides gras à très longues chaînes (AGTLC), ce qui entraîne une maladie neurodégénérative où les tissus les plus touchés sont la moëlle épinière, le cerveau et le cortex surrénal. Les effets liés au système nerveux central conduisent à deux principaux phénotypes : l'adrénomyélonéuropathie (AMN), caractérisée par un dysfonctionnement moteur progressif et l'ALD cérébrale (cALD), caractérisée par une neuroinflammation sévère conduisant à un décès précoce. Aucun traitement pharmacologique n'est actuellement disponible sur le marché. La seule alternative disponible pour les patients atteints d'ALD cérébrale est la greffe de cellules souches hématopoïétiques (HSCT). Cette approche n'empêche pas le développement du phénotype AMN, pour lequel aucun traitement n'est disponible.

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 leriglitzane (MIN-102), un nouvel agoniste sélectif du PPAR γ , 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. Ses principaux investisseurs sont Ysios Capital, HealthEquity, Kurma Partners, Chiesi Ventures, Roche Venture Fund, Caixa Capital Risc, Idivest Partners, Fund+, S.R.I.W, Sambrinvest, SFPI-FPIM.

www.minoryx.com

Contacts médias et analystes - **Andrew Lloyd & Associates**

Céline Gonzalez – Juliette Schmitt-dos Santos

celine@ala.com / juliette@ala.com

@ALA_Group Tél : + 33 1 56 54 07 00