

## **Minoryx Therapeutics reçoit la désignation de médicament orphelin par la FDA pour le leriglitzone dans 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 la FDA pour le leriglitzone, en plus de l'ALD (adrénoleucodystrophie liée à l'X). La société disposera potentiellement d'une exclusivité commerciale de sept ans aux Etats-Unis lors de l'autorisation de mise sur le marché dans cette indication, sous la désignation de médicament orphelin.**

**Mataró, Barcelone, Espagne et Charleroi, Belgique, le 17 octobre 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 dans l'ataxie de Friedreich de la part de la FDA (*Food and Drug Administration*) américaine.

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, les patients peuvent être traités seulement sur 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'adrénomyélongueuropathie (AMN) et dans l'ataxie de Friedreich.

« La désignation de médicament orphelin par la FDA pour l'ataxie de Friedreich est une nouvelle étape majeure pour Minoryx Therapeutics. C'est aussi une reconnaissance forte du potentiel thérapeutique de leriglitzone et de notre engagement à changer la vie des patients qui sont atteints de maladies orphelines graves avec des besoins médicaux non satisfaits », souligne Marc Martinell, DG de Minoryx. « Nous avons récemment terminé le recrutement dans notre essai de phase 2 de leriglitzone dans l'ataxie de Friedreich alors que l'essai pivot chez les patients atteints d'adrénomyélongueuropathie progresse comme prévu. Nous sommes impatients de présenter les premiers résultats de ces deux études fin 2020. »

### **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. 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. Elle est dûe à une anomalie génétique qui entraîne une carence en frataxine. Une personne sur 40 000 est concernée. À l'heure actuelle, il n'existe aucun traitement, seulement des approches symptomatiques.

### **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'adrénomyélongueuropathie (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 en Europe et aux États-Unis.

### **A propos de la désignation de médicament orphelin**

Le programme de désignation de médicament orphelin de la FDA attribue le statut orphelin aux médicaments et aux produits biologiques définis comme visant à traiter, prévenir ou diagnostiquer une maladie rare, qui affecte moins de 200 000 personnes aux États-Unis ou qui répond aux provisions de récupération de coût de l'acte. La désignation de médicament orphelin permet au promoteur du médicament d'avoir accès à plusieurs programmes d'incitation au développement listés dans le 'Orphan Drug Act', y compris des crédits d'impôts pour essais cliniques qualifiés. De plus, le programme prévoit une exclusivité commerciale de sept ans après l'autorisation de mise sur le marché du médicament dans l'indication de la désignation orpheline.

Plus d'informations sur [www.fda.gov](http://www.fda.gov)

### **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](http://www.minoryx.com)

Contacts médias et analystes  
**Andrew Lloyd & Associates**  
Juliette dos Santos – Céline Gonzalez  
[juliette@ala.com](mailto:juliette@ala.com) / [celine@ala.com](mailto:celine@ala.com)  
Tel: +33 1 56 54 07 00  
@ALA\_Group