

Minoryx Therapeutics enrôle le premier patient de son essai clinique de phase II dans l'ataxie de Friedreich

Mataró, Barcelone, Espagne et Charleroi, Belgique, le 4 juin 2019 - Minoryx Therapeutics, une société spécialisée dans le développement de nouveaux médicaments contre des maladies orphelines, annonce aujourd'hui qu'un premier dosage de patient a été réalisé dans l'essai clinique FRAMES de phase II sur l'ataxie de Friedreich avec son candidat médicament leriglitzone (MIN-102).

Le premier patient a reçu le médicament fin avril à l'hôpital La Paz (Madrid, Espagne) au sein du groupe dirigé par le Dr. Francisco Javier Rodriguez de Rivera. Des sites supplémentaires sont ouverts pour l'enrôlement des patients, à l'ICM (Paris, France) sous la direction du Prof. Alexandra Durr, à l'hôpital Sant Joan de Déu (Barcelone, Espagne) avec le Dr. Alexandra Darling, à l'hôpital Erasme-ULB (Bruxelles, Belgique) avec le Prof. Massimo Pandolfo, et à l'Universitätsklinikum RWTH (Aachen, Allemagne) avec le Prof. Jörg Schulz.

L'essai FRAMES est une étude en double-aveugle contre placebo qui vise à évaluer l'efficacité et l'innocuité du leriglitzone chez les patients souffrant d'ataxie de Friedreich. L'investigateur principal de l'essai est le Prof. Alexandra Durr, de l'Institut du Cerveau et de la Moëlle Epinière (ICM) à l'hôpital de La Pitié-Salpêtrière à Paris. L'essai concernera 36 patients de plus de 12 ans qui seront traités pendant un an.

Plusieurs études ont montré que la voie PPAR gamma/PGC1 α était dérégulée dans l'ataxie de Friedreich, faisant de cette voie une cible thérapeutique ayant le potentiel de transformer la maladie. Dans les modèles précliniques, le leriglitzone a montré une capacité à réguler PGC α , à augmenter la survie des neurones, à améliorer la fonction et la biogenèse mitochondriale et à restaurer la production d'énergie.

Le leriglitzone a également montré une bonne efficacité *in vivo* dans des modèles d'autres maladies du système nerveux central (SNC). Il est actuellement testé dans un essai clinique de phase II/III pour le traitement de l'adrénomyélonéuropathie (AMN), le phénotype le plus courant de l'adréno-leucodystrophie liée à l'X (ALD). L'enrôlement de 116 patients dans cet essai a été finalisé en 2018 et environ 25% des patients ont désormais été traités depuis plus d'un an.

« Nous sommes heureux d'avoir commencé à enrôler des patients dans l'essai FRAMES », déclare Marc Martinell, Directeur Général de Minoryx. « Nous y voyons une forte rationalité à développer le leriglitzone dans cette indication sur la base de nos études précliniques. Nous réfléchissons actuellement à un certain nombre d'indications supplémentaires dans le SNC, où le leriglitzone pourrait être bénéfique pour les patients. »

« Je suis ravie de constater que le leriglitzone de Minoryx est en cours d'étude dans plusieurs maladies rares du SNC, un domaine dans lequel nous manquons cruellement de nouveaux traitements », ajoute le Prof. Alexandra Durr, investigateur principal à l'Institut du Cerveau et de la Moëlle Epinière (ICM) au sein de l'hôpital de La Pitié-Salpêtrière à Paris et coordinatrice de l'essai. « Je suis impatiente de mener à bien cet essai et d'avoir, je l'espère, des résultats positifs, ce qui pourrait nous permettre de proposer aux patients souffrant d'ataxie de Friedreich une solution thérapeutique qu'ils appellent de leurs vœux. »



Plus d'informations sur l'essai clinique :

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

A propos de l'ataxie de Friedreich

L'ataxie de Friedreich est une maladie génétique orpheline caractérisée par une perte de coordination et de force musculaire qui résulte de la dégénérescence des tissus nerveux de la moelle épinière et des lésions des nerfs qui contrôlent le mouvement des muscles. Les symptômes peuvent être une incapacité à coordonner ses mouvements ou 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 due à une anomalie génétique qui entraîne une carence en frataxine et affecte aussi bien les enfants de sexe masculin que de sexe féminin. Elle est transmise comme un trait récessif. 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 leroglitzone (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). La société a obtenu une preuve de concept préclinique robuste 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. La société a mené avec succès une étude de phase I confirmant 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, confirmant les résultats obtenus dans les études précliniques. Le leriglitzone a reçu la désignation de médicament orphelin pour le traitement de l'ALD en Europe et aux États-Unis.

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, comme l'ALD ou l'ataxie de Friedreich. Minoryx est dirigée par un groupe d'experts en découverte et développement de médicaments, avec plusieurs décennies d'expérience dans l'industrie biotech et pharmaceutique. 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