

Minoryx Therapeutics lance une étude clinique de phase II dans l'ataxie de Friedreich avec l'autorisation de l'Agence Espagnole du Médicament

Le recrutement des patients pour l'essai FRAMES devrait débuter dans les semaines qui viennent en Espagne, en Belgique et dans d'autres pays européens

Deux leaders d'opinion rejoignent le conseil scientifique de Minoryx

Mataró, Barcelone, Espagne et Charleroi, Belgique, le 27 février 2019 - Minoryx Therapeutics, une société spécialisée dans le développement de nouveaux médicaments contre des maladies orphelines, annonce aujourd'hui qu'elle a reçu l'autorisation de l'Agence espagnole du médicament et des dispositifs médicaux (AEMPS) pour lancer un essai clinique de phase II dans [l'ataxie de Friedreich](#) avec son principal candidat médicament, MIN-102 .

La société annonce également l'arrivée de deux leaders d'opinion au sein de son conseil scientifique : le Dr. Massimo Pandolfo, directeur du Laboratoire de neurologie expérimentale de l'Université Libre de Bruxelles, et le Dr. Fanny Mochel, coordinatrice au sein de l'Institut du Cerveau et de la Moëlle épinière (ICM) à l'hôpital de La Pitié-Salpêtrière à Paris.

FRAMES, un essai clinique de phase II, va débuter dans les semaines à venir à l'hôpital La Paz (Madrid), et sera piloté par le Dr. Francisco Javier Rodríguez de Rivera. Minoryx prévoit également d'ouvrir des sites supplémentaires dans des institutions médicales en Belgique, en Allemagne et en France. L'essai, en double-aveugle avec contrôle placebo, doit permettre d'évaluer l'efficacité et l'innocuité de MIN-102 chez les patients souffrants d'ataxie de Friedreich. L'étude portera sur 36 patients âgés d'au moins 12 ans.

Le MIN-102 est un nouvel agoniste sélectif du PPAR gamma (récepteur activé par les proliférateurs des péroxisomes) avec une bonne biodisponibilité orale. Il a montré in vivo un profil de supériorité dans les maladies du système nerveux central (SNC) et une bonne efficacité. MIN-102 fait également l'objet d'un essai clinique de phase II/III pour le traitement de l'adrénomyélongueuropathie (AMN), le phénotype le plus courant de l'adrénoleucodystrophie liée à l'X (ALD).

« Nous sommes heureux d'avoir reçu l'autorisation de lancer notre étude de phase II dans l'ataxie de Friedreich pour notre principal candidat médicament, le MIN-102 », déclare le Dr. Uwe Meya, directeur médical de Minoryx. « Nous pensons que ce candidat médicament pourrait combler un besoin médical non satisfait dans plusieurs maladies orphelines du système nerveux central. »

« La conception de l'essai FRAMES utilise des critères d'évaluation pertinents qui ont été choisis en s'appuyant sur nos connaissances les plus récentes sur la maladie et sur sa progression naturelle », ajoute le professeur Alexandra Durr, investigateur principal à l'Institut du Cerveau et de la Moëlle épinière (ICM) à l'hôpital de La Pitié-Salpêtrière à Paris. « Je me réjouis de cette approche qui ouvre une option de traitement à nos patients, avec le potentiel d'influer sur la progression de la maladie. »

Dans le cadre du développement de cette nouvelle indication chez Minoryx, deux experts en neurologie clinique rejoignent le conseil scientifique :

Le Dr. **Massimo Pandolfo** est professeur de neurologie et directeur du Laboratoire de neurologie expérimentale de l'Université Libre de Bruxelles (ULB) à Bruxelles, en Belgique. Il est membre de l'American Academy of Neurology (AAN) et de l'European Academy of Neurology (EAN) et ancien président de la Société belge de neurologie. Il a publié plus de 200 articles en neurogénétique et en neurologie clinique, dans des revues à comité de lecture. Le Dr. Pandolfo a dirigé l'équipe qui a identifié le gène de l'ataxie de Friedreich (FRDA pour Friedreich's ataxia) en 1996. Il est depuis lors à l'avant-garde de la recherche fondamentale, translationnelle et clinique sur la FRDA. Il coordonne le Consortium européen pour les études translationnelles sur l'ataxie de Friedreich (EFACTS). En plus de ses travaux précurseurs sur la FRDA, le Dr. Pandolfo a effectué d'importantes contributions au domaine de la neurogénétique en général. Il a participé à des programmes de recherche translationnelle multi-investigateurs et a été investigateur principal pour plusieurs essais cliniques. Les recherches actuelles du Dr. Pandolfo portent sur la pathogenèse des ataxies héréditaires et sur le développement d'approches thérapeutiques basées sur les petites molécules et la thérapie génique contre la FRDA et d'autres maladies neurodégénératives. Le Dr. Pandolfo a obtenu son diplôme de médecine à l'Université de Milan, en Italie, où il a également effectué son internat en neurologie. Au début de sa carrière, il a été professeur adjoint de neurologie à l'Institut national de neurologie C. Besta à Milan et au Baylor College of Medicine à Houston (Texas), puis professeur associé à l'Université de Montréal et professeur adjoint à l'Université McGill.

Le Docteur **Fanny Mochel** est professeur agrégé de génétique de l'Université Pierre et Marie Curie, à Paris (UPMC). Elle a obtenu son diplôme de médecine génétique en 2005 de l'Université Paris Descartes et son doctorat en neurosciences en 2010 de l'UPMC. Le Dr. Mochel dirige le centre français de référence sur les maladies neurométaboliques de l'adulte et coordonne le groupe de recherche neurométabolique à l'Institut du Cerveau et de la Moëlle épinière (ICM) à l'hôpital de La Pitié-Salpêtrière à Paris. Elle est co-présidente de la Société française pour les maladies métaboliques héréditaires chez l'adulte et membre du conseil de la Société française pour l'étude des maladies métaboliques héréditaires. Le Dr. Mochel a mis au point des méthodes IRM pour évaluer le métabolisme cérébral. Son équipe a développé une expertise unique en matière d'étude de la régulation périphérique et cérébrale du métabolisme chez les patients. Pour cela, l'équipe combine la métabolomique des liquides organiques et la spectroscopie par résonance magnétique nucléaire (RMN) in vivo. De plus, le Dr. Mochel a identifié des biomarqueurs qui indiquent une dysfonction métabolique dans des maladies neurodégénératives comme la maladie de Huntington. Cette maladie peut être adressée avec des médicaments qui ciblent le cycle de Krebs, aussi appelés thérapies de régime anaplérotique. Elle a également effectué des recherches de biomarqueurs chez des patients atteints d'ataxie spinocérébelleuse de type 1-2-3 et 7. Elle a utilisé de nouvelles méthodes d'intégration multimodales pour créer des modèles de progression de la maladie. Afin de mieux caractériser et traiter la dysfonction métabolique dans des pathologies qui touchent le système nerveux, l'équipe du Dr. Mochel utilise sur des pathologies neurogénétiques (ex. maladie de Huntington) ou neurométaboliques (ex. adrénomyélonuropathie) une combinaison unique de techniques d'imagerie : imagerie structurelle (suivi des fibres à l'aide d'une analyse au fixel), imagerie fonctionnelle (IRM fonctionnelle au repos grâce à une nouvelle méthode d'estimation du réseau du cerveau entier) et imagerie métabolique (spectroscopie RMN standardisée de l'hydrogène et du phosphore 31).

« Nous sommes ravis que ces deux experts de renom aient décidé de rejoindre notre conseil scientifique », se réjouit Marc Martinell, Directeur Général de Minoryx. « Nous sommes impatients de travailler avec eux pour renforcer le développement du MIN-102 dans l'ALD, l'ataxie de Friedreich et d'autres maladies du système nerveux central. »

Minoryx a levé 21,3 M€ en 2018 lors d'un tour de table de série B pour élargir le développement du MIN-102 à de nouvelles indications. La société espagnole a récemment ouvert une filiale au sein du Biopark Charleroi Brussels South (Belgique), d'où elle pilotera cet essai clinique de phase II dans l'ataxie de Friedreich.

Plus d'informations sur l'essai : <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=MIN-102>

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 affecte aussi bien les enfants de sexe masculin que de sexe féminin et qui 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 MIN-102

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. MIN-102 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 MIN-102 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. MIN-102 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. MIN-102 est le principal candidat médicament de la société. 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.minorityx.com

Contacts media et analystes

Andrew Lloyd & Associates
Juliette Dos Santos – Kübra Somuncu
juliette@ala.com / kubra@ala.com
Tel: +33 1 56 54 07 00
@ALA_Group