

NOTA DE PREMSA

Minoryx presenta resultats d'eficàcia de Fase II/III per al tractament de l'adrenomieloneuropatia

El fàrmac leriglitzona ha demostrat reduir significativament la progressió de les lesions cerebrals i els símptomes de la mielopatia en pacients amb AMN

Minoryx iniciarà converses amb les agències reguladores per a l'aprovació de la leriglitzona a Europa i els Estats Units

Mataró (Barcelona), 26 de gener de 2021. La biotecnològica Minoryx Therapeutics anuncia resultats positius de l'assaig clínic de Fase II/III de la leriglitzona en pacients amb adrenomieloneuropatia (AMN), una **malaltia neurodegenerativa** que causa paraparèsia espàstica progressiva i disfunció del sistema nerviós.

El fàrmac desenvolupat per Minoryx ha demostrat que **redueix significativament la progressió de la mielopatia** (afectació crònica de la medul·la espinal). Si bé la variable primària de l'assaig no va mostrar un efecte clar en tota la mostra de pacients, en els que presentaven un inici més recent de la malaltia sí que es va observar un benefici rellevant. En el global de pacients, la leriglitzona va ser **efectiva** en altres paràmetres com els relacionats amb la **pèrdua de l'equilibri i el control de la postura corporal**, una de les principals característiques de la malaltia.

Al mateix temps, la leriglitzona va **disminuir** de forma altament significativa la **progressió de lesions cerebrals** inflamatòries que caracteritzen el desenvolupament del fenotip agut i potencialment mortal de la malaltia, l'X-ALD cerebral (CALD).

El Dr. Uwe Meya, Chief Medical Officer de Minoryx, explica que "l'AMN és una malaltia amb una gran necessitat mèdica no coberta i sense un tractament aprovat actualment. **L'estudi ADVANCE de Minoryx és una fita en aquesta indicació**, ja que és el major assaig internacional realitzat fins avui i compta amb un protocol recolzat per l'Agència Europea del Medicament i la Food and Drug Administration dels Estats Units".

ADVANCE és un assaig multicèntric, doble cec i controlat amb placebo el qual s'ha dut a terme en hospitals dels Estats Units i Europa amb la participació de 116 pacients homes. Els pacients es van assignar aleatòriament a tractament amb **leriglitazona per via oral** o placebo en una proporció de 2:1. La durada de del tractament ha estat de 2 anys i l'estudi el van completar 96 pacients. Aproximadament, el 90% dels pacients han escollit passar a l'extensió on continuaran rebent el fàrmac i que permetrà seguir recopilant dades.

La leriglitazona s'ha mostrat en general segura i ben tolerada. Com esperava l'equip medicocientífic, els esdeveniments adversos més freqüents associats amb el tractament han estat l'augment de pes i l'edema. És important destacar que no s'han detectat esdeveniments que indiquin un augment de el risc cardíac.

"L'aparició de l'afectació cerebral inflamatòria en pacients amb AMN és potencialment mortal. Les dades de l'estudi suggereixen que aquest risc es pot reduir significativament amb la leriglitazona" diu el Dr. Wolfgang Koehler, investigador principal i coordinador d'ADVANCE al [Centre Mèdic de la Universitat de Leipzig](#) (Alemanya). "La neurodegeneració dels pacients amb AMN és més pronunciada en les primeres etapes de la malaltia i s'alenteix en els que tenen una malaltia de major durada. Tot i que el benefici de la leriglitazona s'ha observat en diversos paràmetres en tota la població de l'estudi, l'efecte més clar s'ha pogut veure en els pacients amb una aparició de símptomes més recent, el que remarca **la necessitat urgent d'un tractament primerenc**" afegeix Koehler.

En base a aquests resultats, Marc Martinell, CEO de la companyia, comenta que "tenim previst iniciar les converses amb les autoritats reguladores en els propers mesos amb l'objectiu de definir el camí per registrar el fàrmac". També "mantenim el nostre compromís d'investigar els beneficis de la leriglitazona en més poblacions de pacients amb X-ALD" afegeix Martinell. En aquest sentit, Minoryx té en marxa un estudi per investigar els efectes de la leriglitazona en la progressió de la malaltia en nens de 2 a 12 anys amb cALD, el fenotip agut de l'X-ALD.

La leriglitazona ha rebut la designació de medicament orfe de l'EMA i l'FDA, així com la designació de malaltia pediàtrica rara i la designació *fast-track* de l'FDA per al tractament de l'X-ALD.

.....

Sobre la leriglitazona

La leriglitazona (MIN-102) és el nou agonista PPAR γ selectiu i biodisponible per via oral de Minoryx, amb el millor perfil de la seva classe per al tractament de malalties del sistema nerviós central (SNC).

Ha demostrat una penetració cerebral adequada i un perfil de seguretat favorable. També ha mostrat eficàcia en estudis preclínic en models animals de múltiples malalties modulant les vies que condueixen a la disfunció mitocondrial, l'estrès oxidatiu, la neuroinflamació, la desmielinització i la degeneració axonal.

.....

Sobre l'X-ALD

L'adrenoleucodistròfia lligada al cromosoma X (X-ALD) és una malaltia neurodegenerativa minoritària. La seva incidència global és aproximadament de 6,2:100.000 nounats. **L'AMN i la cALD son els dos fenotips més comuns.**

L'AMN afecta tots els pacients que arriben a l'edat adulta i es caracteritza per la paraparèsia espàstica progressiva, la disfunció sensorial i la incontinença. Aquesta forma progressa de manera crònica amb l'aparició dels símptomes en l'edat adulta, tant en homes com dones, i el pronòstic és greu.

La cALD afecta homes i normalment apareix entre els 4 i 8 anys d'edat, tot i que fins a un 60% dels pacients adults amb AMN també desenvolupen aquesta forma de la malaltia. Els pacients amb cALD tenen una progressió molt ràpida, inicialment, amb severes efectes neurològics i, finalment, arribant a la mort en 2-4 anys.

Actualment no hi ha cap tractament aprovat disponible per l'AMN. L'únic tractament per a la cALD és el trasplantament de cèl·lules mare hematopoètiques (TCMH) tot i que no hi ha proves que pugui evitar que els pacients desenvolupin AMN més endavant.

Sobre Minoryx Therapeutics

Minoryx és una companyia biotecnològica especialitzada en el desenvolupament de teràpies innovadores per a malalties minoritàries del SNC. El seu principal programa és la leriglitzona (MIN-102), que s'està investigant per a l'X-ALD (inclou l'AMN i la cALD) i l'atàxia de Friedreich. La companyia compta amb el suport d'inversors internacionals (Caixa Capital Risc, Ysios Capital, Healthequity, Roche Venture Fund, Kurma Partners, Fund +, Chiesi Ventures, SRIW Idinvest Partners, Sambrinvest i SFPI-FPIM) i una xarxa d'entitats de el sector. Fundada el 2011, Minoryx té la seva seu al Tecnocampus Mataró i una filial a Bèlgica, i ha aconseguit més de 85 milions d'euros en finançament.

Per a més informació:

Gabinet de premsa (Gemma Escarré)
info@gemmaescarre.com / M. 667 76 15 24
