

NOTA DE PRENSA

## **Minoryx presenta resultados de eficacia de Fase II/III para el tratamiento de la adrenomieloneuropatía**

**El fármaco leriglitzona ha demostrado reducir significativamente la progresión de las lesiones cerebrales y los síntomas de la mielopatía en pacientes con AMN**

**Minoryx iniciará conversaciones con las agencias reguladoras para la aprobación de la leriglitzona en Europa y Estados Unidos**

*Mataró (Barcelona), 26 de Enero de 2021.* La biotecnológica Minoryx Therapeutics anuncia resultados positivos del ensayo clínico de Fase II/III de la leriglitzona en pacientes con adrenomieloneuropatía (AMN), una **enfermedad neurodegenerativa** que causa paraparesia espástica progresiva y disfunción del sistema nervioso.

El fármaco desarrollado por Minoryx ha demostrado que reduce significativamente la **progresión de la mielopatía** (afectación crónica de la médula espinal). Si bien la variable primaria del ensayo no mostró un efecto claro en toda la muestra de pacientes, en los que presentaban un inicio más reciente de la enfermedad sí que se observó un beneficio relevante. Ahora bien, en el global de pacientes, la leriglitzona fué efectiva en otros parámetros como los relacionados con la **pérdida del equilibrio y el control de la postura corporal**, una de las principales características de la enfermedad.

Al mismo tiempo, la leriglitzona disminuyó de forma altamente significativa la **progresión de lesiones cerebrales** inflamatorias que caracterizan el desarrollo del fenotipo agudo y potencialmente mortal de la enfermedad, la X-ALD cerebral (cALD).

El Dr. Uwe Meya, Chief Medical Officer de Minoryx, explica que "la AMN es una enfermedad con una gran necesidad médica no cubierta y sin un tratamiento aprobado actualmente. **El estudio ADVANCE de Minoryx es un hito en esta indicación**, ya que es el mayor ensayo internacional realizado hasta la fecha y cuenta con un protocolo respaldado por la Agencia Europea del Medicamento y la Food and Drug Administration de Estados Unidos".

ADVANCE es un ensayo multicéntrico, doble ciego y controlado con placebo el cual se ha llevado a cabo en hospitales de Estados Unidos y Europa con la participación de 116 pacientes varones. Los pacientes se asignaron aleatoriamente a tratamiento con **leriglitazona por vía oral** o placebo en una proporción de 2:1. La duración del tratamiento ha sido de 2 años y el estudio lo completaron 96 pacientes. Aproximadamente, el 90% de los pacientes han elegido pasar a la extensión donde van a continuar recibiendo el fármaco y que permitirá seguir recopilando datos.

**La leriglitazona se ha mostrado en general segura y bien tolerada.** Como esperaba el equipo médico-científico, los eventos adversos más frecuentes asociados con el tratamiento han sido el aumento de peso y el edema. Es importante destacar que no se han detectado eventos que indiquen un aumento del riesgo cardíaco.

“La aparición de la afectación cerebral inflamatoria en pacientes con AMN es potencialmente mortal. Los datos del estudio sugieren que este riesgo se puede reducir significativamente con la leriglitazona” dice el Dr. Wolfgang Koehler, investigador principal y coordinador de ADVANCE en el Centro Médico de la Universidad de Leipzig (Alemania).

“La neurodegeneración de los pacientes con AMN es más pronunciada en las primeras etapas de la enfermedad y se ralentiza en aquellos con una enfermedad de mayor duración. Aunque el beneficio de la leriglitazona se ha observado en varios parámetros en toda la población del estudio, el efecto más claro se ha podido ver en los pacientes con una aparición de síntomas más reciente, lo que remarca **la necesidad urgente de un tratamiento temprano**” añade Koehler.

En base a estos resultados, Marc Martinell, CEO de la compañía, comenta que “tenemos previsto iniciar las conversaciones con las autoridades reguladoras en los próximos meses con el objetivo de definir el camino para registrar el fármaco”. También “mantenemos nuestro compromiso de investigar los beneficios de la leriglitazona en más poblaciones de pacientes con X-ALD” añade Martinell. En este sentido, Minoryx tiene en marcha un estudio para investigar los efectos de la leriglitazona en la progresión de la enfermedad en niños de 2 a 12 años con cALD, el fenotipo agudo de la X-ALD.

La leriglitazona ha recibido la designación de medicamento huérfano de la EMA y la FDA, así como la designación de enfermedad pediátrica rara y la designación *fast-track* de la FDA para el tratamiento de la X-ALD.

.....

### **Sobre la leriglitazona**

La leriglitazona (MIN-102) es el nuevo agonista PPAR $\gamma$  selectivo y biodisponible por vía oral de Minoryx, con el mejor perfil de su clase para el tratamiento de enfermedades del sistema nervioso

central (SNC). Ha demostrado una penetración cerebral adecuada y un perfil de seguridad favorable. También ha mostrado eficacia en estudios preclínicos en modelos animales de múltiples enfermedades modulando las vías que conducen a la disfunción mitocondrial, el estrés oxidativo, la neuroinflamación, la desmielinización y la degeneración axonal.

.....

### **Sobre la X-ALD**

La adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) es una enfermedad neurodegenerativa minoritaria. Su incidencia global es aproximadamente de 6,2:100.000 recién nacidos. **La AMN y cALD son los dos fenotipos más comunes.**

La AMN afecta a todos los pacientes que llegan a la edad adulta y se caracteriza por la paraparesia espástica progresiva, la disfunción sensorial y la incontinencia. Esta forma progresa de manera crónica con la aparición de los síntomas en la edad adulta, tanto en hombres como mujeres, y el pronóstico es grave.

La cALD afecta a hombres y típicamente aparece entre los 4 y 8 años de edad, aunque hasta un 60% de los pacientes adultos con AMN también desarrollan esta forma de la enfermedad. Los pacientes con cALD tienen una progresión muy rápida, inicialmente, con severos efectos neurológicos y, finalmente, llegando a la muerte en 2-4 años.

Actualmente no hay ningún tratamiento aprobado disponible para AMN. El único tratamiento para la cALD es el trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) aunque no hay pruebas de que pueda evitar que los pacientes desarrollen AMN más adelante.

### **Sobre Minoryx Therapeutics**

Minoryx es una compañía biotecnológica especializada en el desarrollo de terapias innovadoras para enfermedades minoritarias del SNC. Su principal programa es la leriglitazona (MIN-102), que se está investigando para la X-ALD (incluye la AMN y cALD) y la ataxia de Friedreich. La compañía cuenta con el apoyo de inversores internacionales (Caixa Capital Risc, Ysios Capital, HealthEquity, Roche Venture Fund, Kurma Partners, Fund +, Chiesi Ventures, SRIW Idinvest Partners, Sambrinvest y SFPI-FPIM) y una red de entidades del sector. Fundada en 2011, Minoryx tiene su sede en el Tecnocampus Mataró y una filial en Bélgica, y ha conseguido más de 85 millones de euros en financiación.

---

#### **Para más información:**

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

---