

NOTA DE PRENSA

Minoryx presenta la solicitud de autorización de comercialización de su fármaco leriglitzona para el tratamiento de X-ALD

La adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) es una enfermedad minoritaria y neurodegenerativa para la cual no existe tratamiento

Mataró (Barcelona), 14 de septiembre de 2022. Minoryx Therapeutics anuncia hoy que ha presentado la solicitud de autorización de comercialización (MAA) de su fármaco leriglitzona a la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) para el tratamiento de varones adultos con adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD). La **EMA ya ha validado el dossier de la solicitud**, el cual está siendo revisado por el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP).

La X-ALD es una enfermedad neurodegenerativa hereditaria minoritaria o rara. Los pacientes con X-ALD que llegan a la edad adulta desarrollan adrenomieloneuropatía (AMN), que es una forma crónica muy debilitante de la enfermedad. El mayor riesgo para los pacientes con X-ALD, tanto pediátricos como adultos, es el desarrollo de la forma cerebral aguda, cALD, que provoca una agresiva inflamación en el cerebro que lleva a un rápido deterioro neurológico y la muerte en un plazo de 2 a 4 años. Hoy en día no hay tratamientos farmacológicos disponibles para pacientes que padecen X-ALD.

Leriglitzona es un novedoso fármaco de Minoryx capaz de cruzar la barrera hematoencefálica y que ha demostrado un importante potencial para tratar X-ALD y otras enfermedades del sistema nervioso central. La solicitud de comercialización se basa en datos del ensayo clínico ADVANCE, hasta la fecha, el mayor estudio internacional realizado en pacientes adultos con X-ALD. En este estudio, leriglitzona ha mostrado una reducción en la progresión de las lesiones cerebrales y la incidencia de cALD, así como una menor progresión en la pérdida del equilibrio, uno de los síntomas característicos de la AMN. Estos datos están respaldados por NEXUS, un segundo estudio de Minoryx, aún en curso, donde se está evaluando el uso de leriglitzona en niños con cALD.

"La financiación reciente y la presentación de la MAA son dos hitos importantes en los preparativos de Minoryx hacia la aprobación y la comercialización de leriglitzona para pacientes adultos con X-ALD en la Unión Europea" comenta el Dr. Marc Martinell, CEO de Minoryx. "Si se aprueba, leriglitzona sería la **primera opción terapéutica para estos pacientes que padecen esta devastadora enfermedad minoritaria**. Durante la revisión de la MAA por parte de la EMA, seguiremos investigando los beneficios de leriglitzona en otras poblaciones de pacientes con X-ALD" explica Martinell.

"Seguiremos trabajando en estrecha colaboración con la EMA a través del proceso de evaluación para maximizar la posibilidad y minimizar el tiempo para que esta terapia llegue a los pacientes que la necesitan desesperadamente" comenta la Dra. María Pascual, directora de Asuntos

Regulatorios de Minoryx.

Actualmente, Minoryx está en conversaciones con la *Food and Drug Administration* (FDA) para definir los pasos necesarios para llegar a la aprobación de leriglitzona en Estados Unidos. Leriglitzona ha recibido la designación de medicamento huérfano para el tratamiento de X-ALD tanto de la EMA como de la FDA, así como la designación de enfermedad pediátrica rara y la de evaluación por la vía rápida de la FDA.

Sobre Minoryx Therapeutics

Minoryx es una compañía biotecnológica que desarrolla nuevas terapias para enfermedades minoritarias (también conocidas como raras o huérfanas) del Sistema Nervioso Central (SNC) con grandes necesidades médicas no cubiertas. Su principal programa es leriglitzona (MIN-102), un novedoso agonista selectivo de PPAR γ que llega al cerebro y que se está desarrollando para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) y otras enfermedades del SNC. La empresa está respaldada por un sindicato de inversores experimentados, que incluye a Columbus Venture Partners, CDTI Invierte, Caixa Capital Risc, Fund+, Ysios Capital, Roche Venture Fund, Kurma Partners, Chiesi Ventures, S.R.I.W, Idinvest Partners/Eurazeo, SFPI-FPIM, HealthEquity, Sambrinvest y Herrecha, y cuenta con el apoyo de una red de entidades del sector. Fundada en 2011, Minoryx tiene su sede en el TecnoCampus de Mataró (Barcelona) y una filial en Bélgica, y hasta ahora ha conseguido más de 115 millones de euros en financiación incluyendo la Serie C cerrada en julio 2022 por un importe final de 56 millones de euros. Más información en www.minoryx.com.

Sobre la X-ALD

La adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) es una enfermedad neurodegenerativa hereditaria minoritaria o rara. La incidencia global de X-ALD es aproximadamente 6-8/100.000 recién nacidos. La adrenomieloneuropatía (AMN) y la cALD son los fenotipos más comunes. Todos los pacientes con X-ALD que alcanzan la edad adulta desarrollan AMN, caracterizada por la paraparesia espástica progresiva, así como la pérdida de equilibrio, la disfunción sensorial y la incontinencia. La AMN progresa de forma crónica, con la aparición de síntomas en la edad adulta, afecta tanto a hombres como a mujeres y el pronóstico es grave. La cALD puede afectar a los niños y aparece entre los 4 y 8 años de edad, aunque la literatura reciente indica que hasta el 60% de los pacientes adultos con X-ALD también desarrollarán cALD. Los pacientes con cALD no tratados tienen una progresión muy rápida de la enfermedad, con un deterioro neurológico grave que conduce a una discapacidad permanente y la muerte en un plazo de 2 a 4 años. Actualmente, no hay un tratamiento farmacológico disponible para la X-ALD. En la cALD infantil, el tratamiento basado en el trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) puede detener la enfermedad, pero es un procedimiento agresivo y solo está disponible para una parte de los pacientes. En adultos, la experiencia en TCMH es muy limitada y no se recomienda.

Contacto con los medios:

Gemma Escarré Comms
minoryx@gemmaescarre.com
M. 667 76 15 24
