

NOTA DE PRENSA

**Día Mundial de las Enfermedades Raras (28 de febrero)**

## **Minoryx recibe la aprobación de la Agencia Reguladora Española para iniciar el estudio de fase 2 en la ataxia de Friedreich**

**La ataxia de Friedreich es una enfermedad rara neurodegenerativa que se diagnostica antes de los 25 años. En España afecta a unas 2.000 personas**

**El ensayo FRAMES iniciará el reclutamiento de pacientes en las próximas semanas en España, Bélgica y otros países europeos**

**La Paz de Madrid es el único hospital español que participa en el estudio con el fármaco MIN-102**

*Mataró (Barcelona)-Charleroi (Bélgica), 27 de febrero de 2019.* [Minoryx Therapeutics](#), compañía biotecnológica especializada en el desarrollo de nuevos medicamentos para **enfermedades huérfanas**, anuncia hoy que la [Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios](#) (AEMPS) ha aprobado el lanzamiento de un ensayo clínico de fase II para **el tratamiento de la ataxia de Friedreich** (FRDA) con su fármaco candidato MIN-102.

Como parte de la expansión de la compañía en nuevas indicaciones, se unen al consejo asesor científico dos líderes clave en neurología clínica: el **Dr. Massimo Pandolfo**, director del Laboratorio de Neurología Experimental en la [Université Libre de Bruxelles](#) que dirigió el equipo que identificó el gen de la ataxia de Friedreich en 1996, y la **Dra. Fanny Mochel**, líder de grupo en el [Brain and Spine Institute](#) (ICM) del hospital universitario Pitié-Salpêtrière en París y experta en resonancia magnética aplicada en neurología clínica.

El ensayo clínico, denominado FRAMES, iniciará el reclutamiento de pacientes en las próximas semanas en el [Hospital Universitario La Paz](#)

(Madrid), bajo la dirección del **Dr. Francisco Javier Rodríguez de Rivera**. La compañía también trabaja en la apertura del ensayo en más centros en Bélgica, Alemania y Francia.

El ensayo será **doble ciego y controlado con placebo**, con el objetivo de evaluar la eficacia y seguridad del MIN-102 en los pacientes con ataxia de Friedreich. Participarán 36 pacientes mayores de 12 años.

“Estamos muy contentos de haber recibido la aprobación para el lanzamiento de nuestro ensayo clínico de fase II para el tratamiento de la ataxia de Friedreich. Nuestro candidato a fármaco puede satisfacer las grandes necesidades médicas no cubiertas en múltiples enfermedades raras del sistema nervioso central” explica el Dr. Uwe Meya, director médico de Minoryx.

La profesora Alexandra Durr, investigadora principal en el ICM, remarca que “el ensayo clínico FRAMES evalúa parámetros desarrollados con los conocimientos más avanzados de la enfermedad y su curso natural. Este tratamiento proporcionar una **opción terapéutica muy esperada para nuestros pacientes** con el potencial para influir en el curso de la enfermedad”.

En 2018, Minoryx cerró una [ronda de financiación de Serie B](#) con 21,3 millones de euros para ampliar el desarrollo de MIN-102 para nuevas indicaciones. La compañía española también ha abierto recientemente una [filial en el Brussels South Biopark](#) (Bélgica), que dirigirá el ensayo clínico de fase II para el tratamiento de la ataxia de Friedreich.

Más información del ensayo clínico: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=MIN-102>

.....

#### **Doctor Massimo Pandolfo**

Profesor de neurología y director del Laboratorio de Neurología Experimental en la Université Libre de Bruxelles. Es miembro de la Academia Americana de Neurología (AAN) y de la Academia Europea de Neurología (EAN) y ex presidente de la Sociedad Neurológica Belga. Ha publicado más de 200 artículos revisados por expertos en neurogenética y neurología clínica. El Dr. Pandolfo dirigió el equipo que identificó el gen de la FRDA en 1996 y desde entonces ha estado a la vanguardia de la investigación básica, traslacional y clínica

sobre esta enfermedad. Es el coordinador del Consorcio Europeo de Ataxia de Friedreich para Estudios Traslacionales (EFACTS). Además de su trabajo en la FRDA, el Dr. Pandolfo ha proporcionado muchas contribuciones importantes al campo general de la neurogenética.

### **Doctora Fanny Mochel**

Profesora asociada de genética en la Universidad Pierre y Marie Curie de París (UPMC). Dirige el centro de referencia francés sobre enfermedades neurometabólicas en adultos y un grupo de investigación de neurometabólica en el ICM. Es co-presidenta de la sociedad francesa para los errores innatos del metabolismo en adultos y miembro del consejo de la Sociedad para el Estudio de los Errores Internos del Metabolismo. Ha desarrollado metodologías robustas de resonancia magnética para la evaluación del metabolismo cerebral. También ha identificado biomarcadores que reflejan una disfunción metabólica en enfermedades neurodegenerativas como la enfermedad de Huntington y ha realizado estudios de biomarcadores similares en pacientes con ataxia espinocerebelosa tipo 1-2-3 y 7 utilizando métodos novedosos de integración multimodal para modelar la progresión de la enfermedad.

### **Acerca de la ataxia de Friedreich**

La [ataxia de Friedreich](#) (FRDA) es una enfermedad rara genética que se caracteriza por una pérdida de coordinación y fuerza muscular como resultado de la degeneración del tejido nervioso en la médula espinal y de los daños de los nervios que controlan los movimientos musculares. Los síntomas varían desde la incapacidad de coordinar los movimientos, hasta la inestabilidad para caminar, la debilidad muscular y los temblores. Los pacientes pierden la capacidad de mantenerse de pie, sentarse y andar en los primeros 10-15 años desde la aparición de la enfermedad. **La ataxia de Friedreich reduce la esperanza de vida y acaba siendo mortal**, normalmente a causa de una insuficiencia cardíaca. En España afecta a unas 2.000 personas y, de forma global, **a una de cada 40.000 personas**. Actualmente **no se conoce la cura**, solo existen tratamientos para reducir los síntomas.

### **Acerca del fármaco MIN-102**

MIN-102 es un novedoso agonista selectivo de PPAR gamma, biodisponible por vía oral, que ha mostrado un perfil superior en cuanto a penetración cerebral y seguridad. En modelos preclínicos de neurodegeneración el fármaco ha mostrado la capacidad de modular las vías que generan disfunción mitocondrial, estrés oxidativo, neuroinflamación, desmielinización y degeneración axonal. También se ha completado con éxito un estudio clínico de fase I que confirma que MIN-102 es bien tolerado y capaz de cruzar la barrera hematoencefálica a un nivel equivalente al de los estudios preclínicos. Actualmente, se encuentra en [ensayo clínico de fase II/III](#) para el tratamiento de la adrenomielopatía (AMN) en Europa y Estados Unidos.



MIN-102 tiene el potencial de **tratar distintas patologías del sistema nervioso central**, incluidas las enfermedades raras X-ALD y la ataxia de Friedreich. El nuevo fármaco de Minoryx tiene la designación de medicamento huérfano para el tratamiento de la X-ALD tanto en la UE como en Estados Unidos.

### **Acerca de Minoryx Therapeutics**

Minoryx Therapeutics ([www.minoryx.com](http://www.minoryx.com)) es una compañía biotecnológica especializada en el desarrollo de nuevos fármacos para el tratamiento de enfermedades raras o minoritarias como la X-ALD y la ataxia de Friedreich. Su principal programa es MIN-102. El equipo de Minoryx está formado por expertos en desarrollo y descubrimiento de fármacos con décadas de experiencia en el ámbito biotecnológico y farmacéutico. La compañía, fundada en 2011, cuenta con el apoyo de inversores especializados y una red de entidades del sector y opera en España y Bélgica. Desde 2011 cuando se fundó ha conseguido una inversión total de 50 millones de euros.

---

#### **Para más información:**

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

---