

NOTA DE PRENSA

Minoryx inicia el tratamiento del primer paciente con Ataxia de Friedreich en el Hospital La Paz de Madrid

La compañía española está llevando a cabo un ensayo clínico de Fase II con su fármaco leriglitzona (MIN-102)

Esta semana Minoryx participa en la principal convención biotecnológica mundial, BIO 2019, en Filadelfia (EE.UU.)

Mataró (Barcelona)-Charleroi (Bélgica), 4 de mayo de 2019. [Minoryx Therapeutics](#), compañía biotecnológica especializada en el desarrollo de nuevos medicamentos para **enfermedades huérfanas**, anuncia hoy que ha dosificado con el fármaco leriglitzona (MIN-102) al primer paciente en el [ensayo clínico FRAMES de Fase II](#) para el tratamiento de la **Ataxia de Friedreich** (FRDA).

Este primer paciente inició el tratamiento a finales de abril en el [Hospital Universitario La Paz](#) (Madrid) con el equipo médico liderado por el **Dr. Francisco Javier Rodríguez de Rivera**. Paralelamente, el estudio también está reclutando pacientes en los centros liderados por la **profesora Alexandra Durr** en el [Brain and Spine Institute](#) de París (Francia), la **Dra. Alexandra Darling** en el [Hospital Sant Joan de Déu](#) de Barcelona (España), el **profesor Massimo Pandolfo** en el [Hôpital Erasme-ULB](#) de Bruselas (Bélgica), y el **profesor Jörg Schulz** en [Universitätsklinikum RWTH](#) de Aachen (Alemania).

FRAMES es un ensayo **doble ciego y controlado con placebo** con el objetivo de evaluar la eficacia y seguridad de leriglitzona en los pacientes con Ataxia de Friedreich. La investigadora principal del ensayo es la profesora Alexandra Durr. En total, el estudio incluirá a 36 pacientes mayores de 12 años con una duración del tratamiento de un año.

Diversos estudios han demostrado que la vía PPAR γ /PGC1 α tiene potencial para modificar el curso de esta enfermedad. En modelos preclínicos, leriglitazona pudo regular la PGC1 α **aumentando la supervivencia de las neuronas, mejorando la función mitocondrial y su biogénesis, y restaurando la producción de energía.**

Leriglitazona también ha demostrado una buena eficacia in vivo en otras enfermedades del SNC y se encuentra actualmente en un ensayo clínico de fase 2/3 para el tratamiento de la adrenomieloneuropatía (AMN), el fenotipo más común de la adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD).

Marc Martinell, CEO de Minoryx, que esta semana se encuentra en la [convención BIO 2019](#) en Filadelfia (EE.UU.), explica que "hay una sólida justificación para desarrollar leriglitazona en esta indicación. Actualmente, estamos explorando distintas enfermedades raras que afectan al sistema nervioso central en las cuales leriglitazona podría beneficiar a los pacientes".

"Hay una gran necesidad médica de tratamientos innovadores en este campo y estoy contenta que Minoryx esté trabajando en ello" remarca la profesora Alexandra Durr. "El resultado positivo de este ensayo clínico podría significar una opción de tratamiento muy esperada para los pacientes con esta enfermedad sin cura".

Más información del ensayo clínico:

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=MIN-102>

.....

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 y solo existen tratamientos para reducir los síntomas.

Acerca leriglitazona

Leriglitazona (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 adrenomieloneuropatía (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) 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 / M. 667 76 15 24
