

NOTA DE PRENSA

Minoryx completa el reclutamiento del ensayo clínico de Fase II de leriglitzona para la ataxia de Friedreich

Un total de 39 pacientes participan en el ensayo multicéntrico FRAMES para demostrar la eficacia de este fármaco innovador

La ataxia de Friedreich es una enfermedad minoritaria, hereditaria y neurodegenerativa grave

Mataró (Barcelona)-Charleroi (Bélgica), 8 de octubre de 2019. [Minoryx Therapeutics](#), compañía especializada en el desarrollo de tratamientos innovadores para las enfermedades huérfanas del sistema nervioso central (SNC), anuncia hoy que ha completado el reclutamiento de pacientes en el [ensayo clínico FRAMES de Fase II](#) de su fármaco leriglitzona (MIN-102) para la ataxia de Friedreich (FRDA).

FRAMES es un ensayo multicéntrico, aleatorio, doble ciego y controlado con placebo que evaluará la eficacia y la seguridad de leriglitzona en pacientes con FRDA. En total se han reclutado a 39 pacientes en cuatro países europeos en solo cuatro meses y medio, mucho antes de lo previsto. Los pacientes, que tienen entre 12 y 60 años, **recibirán leriglitzona administrada una vez al día por vía oral durante un año**. El objetivo principal del ensayo es controlar el efecto sobre la progresión de la enfermedad, que se medirá mediante imágenes de resonancia magnética de última generación de la médula espinal. Los objetivos secundarios incluyen la seguridad y tolerabilidad.

"Estamos muy satisfechos del gran apoyo de la comunidad médica y los pacientes que han hecho posible completar el reclutamiento de este ensayo clínico antes de lo previsto. **Esperamos dar a conocer los resultados a finales de 2020**" comenta Marc Martinell, CEO de Minoryx.

La profesora Alexandra Durr del [Brain and Spine Institute](#) de París (Francia) e investigadora principal de FRAMES destaca que la ataxia de Friedreich "es una enfermedad neurodegenerativa huérfana y devastadora que generalmente empieza

entre los 5 y 18 años de edad. Existe una gran necesidad de disponer de terapias efectivas para modificar esta enfermedad, ya que **los pacientes actualmente dependen de terapias sintomáticas e intervenciones no farmacológicas para controlarla**”.

El potencial modificador de leriglitazona se ha demostrado en modelos preclínicos de FRDA: incrementó la supervivencia de las neuronas, mejoró la función mitocondrial y la biogénesis, y restableció la producción de energía.

Leriglitazona también ha demostrado ser eficaz en modelos in vivo de otras enfermedades del SNC y, actualmente, se encuentra en un ensayo clínico pivotal de fase II/III para el tratamiento de la adrenomieloneuropatía (AMN). Este ensayo reclutó 116 pacientes, los cuales han recibido tratamiento durante más de un año sin experimentar eventos de seguridad graves.

.....

Acerca de la Ataxia de Friedreich

La [ataxia de Friedreich](#) (FRDA) es una enfermedad rara genética que **afecta a una de cada 40.000 personas** y 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. 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 SNC, 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 leriglitzona (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
