

NOTA DE PRENSA

Minoryx consigue la designación de medicamento huérfano de la FDA y la Comisión Europea de la leriglitazona para el tratamiento de la ataxia de Friedreich

Es la segunda designación de medicamento huérfano otorgada a la leriglitazona, después de la de X-ALD

Minoryx podrá recibir asesoramiento científico en el desarrollo clínico y exclusividad del mercado de 7 a 10 años

Mataró (Barcelona)-Charleroi (Bélgica), 12 de noviembre de 2019. [Minoryx Therapeutics](#) ha recibido la designación de medicamento huérfano de su principal candidato a fármaco, la leriglitazona (MIN-102), para el tratamiento de la ataxia de Friedreich por la [US Food and Drug Administration](#) (FDA) y la [Agencia Europea del Medicamento](#) (EMA). En 2016 la recibió para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD).

La [ataxia de Friedreich](#) (FRDA) es una **enfermedad neurodegenerativa genética grave**, rara y que se caracteriza por la pérdida de coordinación y fuerza muscular. La enfermedad es el resultado de la deficiencia de frataxina, que conduce a la disfunción mitocondrial y **acaba siendo mortal**, normalmente, a causa de una insuficiencia cardíaca. La FRDA afecta a una de cada 40.000 personas en todo el mundo y a menudo empieza entre los 5 y 18 años de edad. Los **pacientes solo disponen de tratamientos sintomáticos** para controlarla.

La leriglitazona es un novedoso agonista selectivo de PPAR γ que penetra en el cerebro y biodisponible por vía oral. El potencial modificador de la enfermedad se ha demostrado en múltiples modelos preclínicos: leriglitazona tiene un **efecto antioxidante, antiinflamatorio y neuroprotector**. Actualmente, el fármaco se encuentra en desarrollo clínico avanzado tanto para el tratamiento de la adrenomieloneuropatía (fase II/III) como la FRDA (fase II).

"Estamos muy contentos por estas designaciones porque demuestran aún más el potencial de este candidato a medicamento y nuestro compromiso de mejorar la vida de los pacientes que sufren enfermedades huérfanas graves" comenta Marc



Martinell, CEO de Minoryx. "Leriglitzona es nuestro principal fármaco y esperamos presentar los resultados clínicos de los estudios en marcha a finales de 2020" remarca Martinell.

.....

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
