

Minoryx Therapeutics termine le recrutement de FRAMES, son essai clinique de phase 2 du leriglitzone dans l'ataxie de Friedreich

Le recrutement de 39 patients dans l'essai multicentrique Européen de phase 2 a été finalisé plus tôt que prévu

Mataró, Barcelone, Espagne et Charleroi, Belgique, le 8 octobre 2019 - Minoryx Therapeutics, une société spécialisée dans le développement de traitements innovants contre des maladies orphelines du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui avoir terminé le recrutement des patients dans son essai clinique de phase 2 FRAMES sur l'ataxie de Friedreich avec son candidat médicament leriglitzone (MIN-102), un nouvel agoniste du PPAR γ .

L'essai FRAMES est une étude multicentrique et randomisée, en double-aveugle contre placebo, qui vise à évaluer l'efficacité et l'innocuité du leriglitzone chez les patients souffrant d'ataxie de Friedreich. Le recrutement de 39 patients dans quatre pays européens a été réalisé au cours des derniers quatre mois et demi en avance sur les prévisions. Les patients, âgés de 12 à 60 ans, vont recevoir durant un an une dose quotidienne de leriglitzone en suspension orale. L'objectif principal de l'essai consiste à évaluer l'effet du candidat médicament sur la progression de la maladie. Cet effet sera mesuré par imagerie de pointe de la moëlle épinière. Les objectifs secondaires incluent l'innocuité et la tolérance, l'effet sur d'autres observations cliniques, telles que les retours des patients, l'échelle d'incapacité fonctionnelle et les biomarqueurs exploratoires.

« Nous sommes heureux du fort soutien de la communauté médicale et des patients qui ont permis de terminer le recrutement pour l'essai FRAMES avant la date prévue. Cela démontre le besoin de nouvelles options de traitement ayant le potentiel de modifier le cours de la maladie pour les patients atteints de cette pathologie grave », déclare Marc Martinell, PDG de Minoryx. « Nous sommes impatients de terminer le traitement de tous les patients de l'étude et de présenter les résultats qui sont prévus vers la fin 2020. »

« Nous sommes ravis d'avoir pu recruter tous les patients de cet essai en si peu de temps », ajoute le Prof. Alexandra Durr, de l'Institut du Cerveau et de la Moëlle Epinière (ICM) à l'hôpital de La Pitié-Salpêtrière, investigateur principal et coordinateur de l'essai FRAMES. « L'ataxie de Friedreich est une maladie neurodégénérative orpheline dévastatrice qui se déclenche généralement chez les patients âgés de 5 à 18 ans. Il existe un énorme besoin non satisfait pour des traitements novateurs et efficaces pour agir sur le cours de la maladie, car les patients n'ont actuellement que des traitements symptomatiques et des interventions non pharmacologiques pour gérer leur maladie. »

Plusieurs études ont montré que la voie PPAR γ /PGC1 α était régulée à la baisse dans l'ataxie de Friedreich (FRDA). Le potentiel modificateur du leriglitzone sur la maladie a été démontré dans les modèles précliniques de FRDA, indiquant que le leriglitzone augmentait la survie des neurones, améliorait la fonction et la biogenèse mitochondriales et rétablissait la production d'énergie, en régulant efficacement la PGC1 α .

Le leriglitzone s'est également révélé efficace dans des modèles *in vivo* d'autres maladies du SNC et fait actuellement l'objet d'une étude clinique pivot de phase 2/3 pour le traitement de l'adrénomyéloneuropathie (AMN), le phénotype le plus courant de l'adrénoleucodystrophie liée à l'X (ALD). L'enrôlement de 116 patients dans cet essai a été finalisé et ils ont tous reçu un traitement depuis plus d'un an sans incidents graves liés à l'innocuité. Les résultats de cet essai devraient être disponibles d'ici la fin de l'année 2020 et la société prévoit de déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe et aux États-Unis en 2021.

A propos de l'ataxie de Friedreich

L'ataxie de Friedreich est une maladie génétique orpheline caractérisée par une perte de coordination et de force musculaire qui résulte de la dégénérescence des tissus nerveux de la moelle épinière et des lésions des nerfs qui contrôlent le mouvement des muscles. Les symptômes peuvent être une incapacité à coordonner ses mouvements ou une démarche instable avec déséquilibre, faiblesse musculaire et tremblements. Dans les 10 à 15 ans qui suivent le début de la maladie, les patients perdent peu à peu leur capacité à se lever, à s'asseoir et à marcher. L'ataxie de Friedreich raccourcit l'espérance de vie et entraîne des décès précoces, principalement en lien avec l'insuffisance cardiaque. Elle est dûe à une anomalie génétique qui entraîne une carence en frataxine. Une personne sur 40 000 est concernée. À l'heure actuelle, il n'existe aucun traitement, seulement des approches symptomatiques.

A propos de leriglitzone

Le leriglitzone (MIN-102) est un nouvel agoniste sélectif du PPAR γ , biodisponible par voie orale et qui pénètre dans le cerveau. Il est capable d'engager le récepteur cible aux niveaux requis pour être efficace dans le système nerveux central (SNC). Il a démontré son efficacité dans des modèles animaux pour plusieurs pathologies qui déclenchent une réaction en chaîne conduisant à un dysfonctionnement mitochondrial, un stress oxydatif, une neuroinflammation, une démyélinisation et une dégénérescence axonale. Le leriglitzone pourrait traiter plusieurs maladies du SNC, y compris des maladies orphelines comme l'ALD (adrénoleucodystrophie liée à l'X) et l'ataxie de Friedreich. Une étude de phase 1 a confirmé que le leriglitzone était bien toléré et qu'il était capable de franchir la barrière hémato-encéphalique et d'engager le PPAR γ dans les maladies du SNC. Il est actuellement testé dans un essai clinique pivot de phase 2/3 d'une durée de deux ans et en double-aveugle contre placebo, pour le traitement d'adultes souffrant d'adrénomyéloneuropathie (AMN). Il est également testé dans un essai de phase 2 d'une durée de un an en double-aveugle contre placebo chez des patients souffrant d'ataxie de Friedreich. Les résultats de ces deux essais sont attendus pour la fin de l'année 2020. Le leriglitzone a reçu la désignation de médicament orphelin pour le traitement de l'ALD en Europe et aux États-Unis.

A propos de Minoryx Therapeutics

Minoryx est une société de biotechnologie au stade clinique qui développe de nouveaux traitements pour les maladies orphelines du SNC avec un besoin médical fort. Le principal candidat médicament de la société, le leriglitzone (MIN-102), un nouvel agoniste sélectif du PPAR γ , est en cours d'évaluation dans l'ALD et l'ataxie de Friedreich. La société est financée par un syndicat d'investisseurs expérimentés et bénéficie du soutien d'autres organisations. Basée en Espagne et en Belgique, Minoryx a été fondée en 2011 et a levé au total 50 millions d'euros.

www.minoryx.com

Contacts médias et analystes

Andrew Lloyd & Associates

Juliette dos Santos – Céline Gonzalez

juliette@ala.com / celine@ala.com

Tel: +33 1 56 54 07 00

@ALA_Group
