

Minoryx Therapeutics enrôle le premier patient de l'essai clinique pivot NEXUS du leriglitzone dans la cALD

Le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) du leriglitzone dans l'ALD a été autorisé par l'EMA, permettant de déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe sur la base de l'étude NEXUS

Le calendrier des autres essais en cours n'a pas été affecté par la pandémie de COVID-19

Mataró, Barcelone, Espagne et Charleroi, Belgique, le 12 mai 2020 – Minoryx Therapeutics, une société spécialisée dans le développement de traitements innovants contre des maladies orphelines du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui le lancement de l'essai pivot de phase 2 NEXUS pour évaluer la sécurité et l'efficacité du leriglitzone chez les enfants atteints d'ALD cérébrale pédiatrique (cALD), la forme aiguë de l'adrénoleucodystrophie liée à l'X (ALD).

En outre, l'Agence européenne des médicaments (EMA) a validé le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) du leriglitzone dans le traitement de l'ALD, permettant à la société de déposer une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) en Europe sur la base de l'essai de phase 2 NEXUS, sous réserve de résultats positifs. Minoryx a obtenu un délai pour finaliser son plan pédiatrique jusqu'après l'autorisation de l'EMA pour l'adrénomyélongueuropathie (AMN).

Le leriglitzone (MIN-102), un nouvel agoniste sélectif du PPAR γ biodisponible par voie orale et pénétrant dans le cerveau, est actuellement en phase finale de développement pour le traitement des maladies orphelines graves du système nerveux central, y compris les deux formes de l'ALD (cALD et AMN) et l'ataxie de Friedreich. Le leriglitzone a obtenu la désignation de médicament orphelin dans l'ALD de la Commission Européenne et de la FDA, et a bénéficié de la procédure accélérée de la FDA dans l'ALD.

« Grâce au dépistage des nouveau-nés actuellement mis en place, il est désormais possible de diagnostiquer à un stade précoce les patients atteints de cALD, une maladie neurodégénérative orpheline caractérisée par une démyélinisation cérébrale rapide et une inflammation du cerveau, qui entraîne la mort quelques années après le diagnostic. Il existe un besoin urgent de traitements alternatifs moins invasifs que le standard actuel, qui repose sur la transplantation de cellules souches hématopoïétiques », déclare le Dr. Patricia Musolino, investigateur principal de l'essai clinique et professeur adjoint de neurologie à la Harvard Medical School. « Le premier patient, un garçon de dix ans, a été recruté dans l'essai NEXUS à l'hôpital Sant Joan de Déu de Barcelone. Nous continuerons à soutenir l'entreprise en vue de proposer cette innovation indispensable aux patients pédiatriques souffrant de cette maladie dévastatrice. »

María Pascual, directrice des affaires réglementaires chez Minoryx, ajoute : « Cette autorisation du PIP par l'EMA, basée sur l'essai NEXUS, marque une étape importante pour la société. Elle souligne l'importance de mettre à disposition des enfants atteints d'ALD précoce des traitements alternatifs sûrs et efficaces. Elle ouvre la voie non seulement à un enregistrement plus rapide du leriglitzone dans l'ALD cérébrale de l'enfant, mais aussi à une demande d'AMM en Europe pour le leriglitzone dans l'adrénomyélongueuropathie, une fois que l'essai de phase 2/3 ADVANCE aura été finalisé. »

« Nous sommes heureux que le premier patient ait été recruté dans l'essai NEXUS et nous prévoyons de communiquer les résultats en 2021, avec des résultats préliminaires potentiellement dès cette année », souligne Marc Martinell, directeur général de Minoryx.

« Malgré la pandémie actuelle de COVID-19, le calendrier des autres essais en cours avec le leriglitzone, dans l'adrénomyélongueuropathie et dans l'ataxie de Friedrich, n'a pas été modifié. La sécurité et les besoins de nos patients étant toujours prioritaires, nous continuons de travailler en étroite collaboration avec les sites d'étude et avec notre CRO pour mener à bien ces essais. Nous prévoyons toujours de communiquer les résultats de ces deux essais d'ici fin 2020. »

À propos de l'essai NEXUS et du PIP

L'essai clinique pivot de phase 2 NEXUS est une étude ouverte conçue pour évaluer l'efficacité et la sécurité du leriglitzone chez les patients pédiatriques de sexe masculin atteints d'adrénoleucodystrophie cérébrale liée à l'X (cALD) à un stade précoce. Outre l'Espagne, l'essai a également été autorisé par les comités d'éthique et les agences réglementaires en France et en Allemagne. En complément du site de Barcelone, sous la supervision du Dr. Angeles García-Cazorla, les autres sites de recrutement sont le centre médical universitaire de Hambourg-Eppendorf, avec le Dr. Anette Bley, le centre hospitalier universitaire de Göttingen, sous la supervision du Dr. Hendrik Rosewich, et l'hôpital Bicêtre à Paris, avec le Dr. Caroline Sevin.

L'essai NEXUS prévoit de recruter jusqu'à 13 patients atteints de cALD présentant des lésions cérébrales précoces à l'IRM. Tous les patients recevront du leriglitzone et seront suivis de près pour vérifier l'innocuité, les symptômes cliniques et l'évolution des lésions cérébrales à l'IRM. L'étude a été conçue avec la participation de l'EMA et de la FDA, d'experts cliniques de l'ALD en Europe et aux États-Unis, et d'associations de patients. L'essai est financé en partie par le programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne (instrument PME) au titre de la convention de subvention n°822968. Le PIP (Plan d'Investigation Pédiatrique) du leriglitzone se base sur l'essai NEXUS et a été approuvé par l'EMA suite à l'avis positif de son comité pédiatrique (PDCO). Le PIP prévoit un délai pour finaliser l'essai jusqu'après l'autorisation de mise sur le marché du leriglitzone dans l'adrénomyélongueuropathie (AMN), la forme la plus courante de l'ALD. Si le PIP est mené à son terme, le leriglitzone pourra bénéficier de deux années supplémentaires d'exclusivité de commercialisation, en plus de l'exclusivité de dix ans après l'autorisation de mise sur le marché.

A propos de l'ALD et la cALD

L'ALD (adrénoleucodystrophie liée à l'X) est la maladie peroxysomale la plus répandue. Elle est causée par des mutations dans le gène ABCD1. Son incidence est estimée à 1:17 000 nouveau-nés dans le monde. Bien qu'elle touche principalement les hommes, les femmes hétérozygotes peuvent également développer la maladie plus tard dans leur vie. L'ALD est caractérisée par l'accumulation d'acides gras à très longues chaînes (AGTLC), qui entraîne une maladie neurodégénérative où les tissus les plus touchés sont la moëlle épinière, le cerveau et le cortex surrénal. Les effets liés au système nerveux central conduisent à deux principaux phénotypes : l'adrénomyélongueuropathie (AMN), caractérisée par un dysfonctionnement moteur progressif et l'ALD cérébrale (cALD), caractérisée par une neuroinflammation sévère conduisant à un décès précoce. Aucun traitement pharmacologique n'est actuellement disponible sur le marché. La seule alternative disponible pour les patients atteints de cALD est la greffe de cellules souches hématopoïétiques (HSCT). Cette approche n'empêche pas le développement du phénotype AMN, pour lequel aucun traitement n'est disponible.

A propos du 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 Friedrich. 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. Le recrutement a été finalisé pour ADVANCE, 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 souffrants d'adrénomyélongueuropathie (AMN) et le recrutement est en cours pour NEXUS, une étude pivot ouverte chez des patients pédiatriques atteints de cALD. Le recrutement est également terminé pour FRAMES, une étude de phase 2 d'un an en double aveugle, avec contrôle placebo, chez des patients atteints d'ataxie de Friedrich. Les résultats des études ADVANCE et FRAMES sont attendus d'ici la fin 2020, et ceux de l'étude NEXUS sont attendus pour 2021. Le leriglitzone a reçu la désignation de médicament orphelin pour le traitement de l'ALD et de l'ataxie de Friedrich 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 plus de 50 millions d'euros. Ses principaux investisseurs sont Ysios Capital, HealthEquity, Kurma Partners, Chiesi Ventures, Roche Venture Fund, Caixa Capital Risc, Iinvest Partners, Fund+, S.R.I.W, Sambrinvest et SFPI-FPIM.

www.minoryx.com

Contacts médias et analystes

Andrew Lloyd & Associates
Emilie Chouinard / Juliette Schmitt-dos Santos

emilie@ala.com – juliette@ala.com

Tel.: +33 1 56 54 07 00

@ALA_Group
