

**L'Agence Européenne des Médicaments valide la demande
d'Autorisation de Mise sur le Marché de Minoryx pour son candidat principal,
la leriglitzone, pour le traitement de l'Adrénoleucodystrophie liée à l'X (X-ALD)**

Mataró, Barcelone, Espagne, le 14 septembre 2022 - [Minoryx Therapeutics](#), société de biotechnologie en phase avancée dans le développement de traitements pour les troubles orphelins du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui qu'elle a déposé une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour son candidat principal, la leriglitzone, auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) pour le traitement des patients adultes de sexe masculin atteints [d'adrénoleucodystrophie liée à l'X \(X-ALD\)](#). A l'heure actuelle, l'EMA a validé le dossier d'AMM. Ce dernier est en cours d'examen par le Comité des Médicaments à Usage Humain (CHMP).

Développée par Minoryx, la [leriglitzone](#) est un nouvel agoniste PPAR gamma, sélectif et capable de pénétrer dans le cerveau. La demande d'AMM est basée sur les données issues de [l'étude pivot ADVANCE de Minoryx](#), une étude en double aveugle, contrôlée par placebo, menée en Europe et aux Etats-Unis sur 116 patients. ADVANCE est la première étude de grande envergure concluante à cibler des patients adultes de sexe masculin atteints de X-ALD. Au sein de l'étude ADVANCE, [la leriglitzone a entraîné une réduction](#) de la progression des lésions cérébrales, de l'incidence de l'Adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD) et de la progression des symptômes de la myélopathie tels que la perte d'équilibre. Ces données sont étayées par l'extension ouverte de l'étude ADVANCE en cours, et par [NEXUS](#), un essai d'enregistrement ouvert évaluant la leriglitzone chez les garçons atteints de cALD. Les résultats de l'étude ADVANCE ont été présentés à l'occasion de la [réunion annuelle 2021 de l'American Neurological Association \(AAN\)](#).

L'X-ALD est une maladie neurodégénérative orpheline et héréditaire. Les patients qui atteignent l'âge adulte finissent par développer une adrénomyélongueopathie, une forme chronique hautement débilitante de la maladie. Qu'ils soient enfants ou adultes, le risque principal pour les patients reste le développement de la forme cérébrale aiguë de la maladie, la cALD, qui entraîne une inflammation cérébrale agressive conduisant à un handicap permanent puis à la mort dans les 2 à 4 ans.

« Le récent financement de 56 millions d'euros et cette demande d'autorisation constituent deux étapes clés des préparatifs de Minoryx en vue de l'approbation et de la commercialisation de la leriglitzone pour le traitement de l'X-ALD dans l'Union Européenne, ainsi que pour la poursuite du développement de la thérapie », commente Marc Martinell, Directeur Général de Minoryx. « Si elle est approuvée, la leriglitzone deviendrait la toute première option thérapeutique pour les patients adultes atteints de X-ALD, une maladie orpheline dévastatrice présentant un fort besoin médical encore non satisfait à ce jour. Minoryx poursuivra son étude des éventuels bénéfices de la leriglitzone dans d'autres populations de patients souffrant d'X-ALD tout au long de l'étude de la demande d'AMM par l'EMA. »

« Avec l'initiation du processus d'examen de la demande d'AMM par l'EMA, Minoryx fait un pas de plus vers la mise à disposition d'un traitement pour les patients et les familles vivant au quotidien avec cette maladie rare mais dévastatrice », poursuit **Maria Pascual, Directrice des Affaires réglementaires chez Minoryx**. « Nous continuerons à travailler en étroite collaboration avec l'EMA tout au long du processus d'évaluation afin de maximiser les chances que cette thérapie atteigne enfin les patients qui en ont le plus besoin. »

Minoryx est actuellement en discussion avec la *Food and Drug Administration* américaine (FDA) pour définir les prochaines nécessaires à l'approbation de la leriglitzone aux Etats-Unis. La FDA et l'EMA ont attribué le statut de médicament orphelin à la leriglitzone. La FDA lui a également attribué la désignation « *fast track* » et « maladie pédiatrique rare » pour le traitement de la X-ALD.

A propos de Minoryx : www.minoryx.com

Minoryx est une société de biotechnologie en phase d'enregistrement spécialisée dans le développement de nouvelles thérapies ciblant les maladies orphelines du Système Nerveux Central (SNC) à fort besoin médical. Le programme phare de la société, la leriglitzone (MIN-102), un nouvel agoniste sélectif des PPAR gamma et capable de pénétrer dans le cerveau, est développé dans le traitement de l'adrénoleucodystrophie liée à l'X (X-ALD) et d'autres maladies orphelines du SNC. La société est soutenue par un syndicat d'investisseurs expérimentés incluant : Columbus Venture Partners, CDTI Innvierte, Caixa Capital Risc, Fund+, Ysios Capital, Roche Venture Fund, Kurma Partners, Chiesi Ventures, S.R.I.W, Idinvest Partners / Eurazeo, SFPI-FPIM, HealthEquity, Sambrinvest et Herrecha, et dispose du soutien d'un réseau d'autres organisations. Fondée en 2011, Minoryx est basée en Espagne et dispose d'une filiale en Belgique. Depuis sa création, Minoryx a levé plus de 115 millions d'euros.

A propos de l'Adrénoleucodystrophie liée à l'X :

L'Adrénoleucodystrophie liée à l'X (X-ALD) est une maladie neurodégénérative orpheline. L'incidence globale de la X-ALD est d'environ 6-8/100 000 naissances vivantes. Tous les patients souffrant de cette pathologie et qui atteignent l'âge adulte finissent par développer une Adrénomyélongueuropathie (AMN), une pathologie caractérisée par une paraparésie spastique progressive, une détérioration progressive du sens de l'équilibre et de la fonction sensorielle et par le développement d'une incontinence. Cette forme de la maladie évolue de manière chronique, les symptômes apparaissant généralement à l'âge adulte. Elle touche à la fois les hommes et les femmes et présente de manière générale un mauvais pronostic. L'Adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD) touche généralement les garçons et se manifeste entre 4 et 8 ans, mais des publications récentes indiquent que jusqu'à 60% des patients adultes atteints de X-ALD développeront également la cALD. La cALD se caractérise notamment par une inflammation agressive des tissus cérébraux et, en l'absence de traitement, évolue rapidement vers une altération grave des fonctions neurologiques, entraînant souvent un handicap permanent et la mort dans les 2 à 4 ans. Il n'existe actuellement aucun traitement pharmacologique de la X-ALD. Dans l'enfance, la Transplantation de Cellules Souches Hématopoïétiques (TCSH) peut arrêter la maladie, mais il s'agit d'une procédure agressive qui n'est accessible qu'à une partie limitée des patients. Chez les adultes, l'expérience en matière de TCSH est très limitée et l'intervention n'est que rarement recommandée.

Contacts :

NewCap – Relations Médias France

Arthur Rouillé

+33 (0)1 44 71 00 15

arouille@newcap.fr

NewCap – Relations Médias Belgique

Laure-Eve Monfort

+32 (0) 489 57 76 52

lemonfort@newcap.fr