

NOTA DE PRENSA

## Minoryx dosifica el primer paciente pediátrico con leriglitzona para tratar la cALD en el Hospital Sant Joan de Déu Barcelona

**El estudio podría servir para registrar el fármaco en la Agencia Europea del Medicamento**

**Los otros ensayos clínicos ADVANCE y FRAMES siguen su curso a pesar de la pandemia del Covid-19**

*Mataró (Barcelona)-Charleroi (Bélgica), 15 de Mayo de 2020.* La biotecnológica española [Minoryx Therapeutics](#) ha iniciado un **ensayo clínico de Fase II** para evaluar la seguridad y la eficacia del fármaco leriglitzona en pacientes pediátricos con X-ALD cerebral (cALD) precoz. El primer paciente reclutado, un niño de diez años, ha sido en el [Hospital Sant Joan de Déu Barcelona](#).

Los primeros resultados del estudio, denominado NEXUS, están previstos para 2021. Si son positivos, el estudio podrá servir para el registro del nuevo medicamento **para su comercialización** ya que recientemente la Agencia Europea del Medicamento (EMA) ha aprobado el Plan de Investigación Pediátrica de Minoryx para la X-ALD.

"La cALD es una **enfermedad minoritaria neuroinflamatoria grave** que provoca la muerte prematura. Hay una necesidad urgente de tratamientos menos invasivos que el actual tratamiento basado en el trasplante de células madre hematopoyéticas" explica la **Dra. Patricia Musolino**, investigadora principal del estudio y profesora adjunta de Neurología en la [Harvard Medical School](#).

El estudio se ha diseñado con aportaciones tanto de la EMA como la FDA, expertos clínicos en X-ALD en Europa y Estados Unidos, y asociaciones de pacientes. En total, se reclutarán hasta 13 pacientes con cALD. Aparte del Hospital San Joan de Déu Barcelona, también participan el [University Medical Center Hamburg-Eppendorf](#) (Alemania), el University Hospital Göttingen (Alemania) y el [Bicêtre Hospital](#) de Paris (Francia).

La situación sanitaria causada por la pandemia del Covid-19 no ha afectado significativamente los otros ensayos clínicos en curso de Minoryx con la leriglitzona —[ADVANCE](#) de Fase II/III para la adrenomieloneuropatía (AMN) y [FRAMES](#) de Fase II para la ataxia de Friedrich—. "Siempre priorizando la seguridad y las necesidades de los pacientes, seguimos trabajando con los centros hospitalarios y la CRO, y esperamos tener los resultados de los dos ensayos a finales de este año" comenta Marc Martinell, CEO de Minoryx.

.....

### La cALD, enfermedad minoritaria grave

La adrenoleucodistrofia relacionada con el cromosoma X (X-ALD) tiene dos fenotipos principales: adrenomieloneuropatía (AMN), que se caracteriza por una disfunción motora progresiva, y **X-ALD cerebral (cALD)**, caracterizada por una neuroinflamación severa que provoca la muerte precoz. La única alternativa para controlar la cALD es el trasplante de células madre hematopoyéticas, pero este enfoque no impide el desarrollo de AMN durante la edad adulta, para la que aún no hay un tratamiento aprobado.

La X-ALD es la enfermedad peroxisomal más frecuente, causada por mutaciones del gen ABCD1 y con una incidencia estimada de 1:17.000 recién nacidos en todo el mundo. Afecta principalmente a los hombres. Se caracteriza por la acumulación de ácidos grasos de cadena muy larga que da lugar a un trastorno neurodegenerativo donde los tejidos más afectados son la médula espinal, el cerebro y la corteza suprarrenal.

.....

### El alto potencial de la leriglitzona como fármaco

La leriglitzona (MIN-102) es un agonista de PPAR $\gamma$  biodisponible, selectivo y vía oral para el tratamiento de trastornos graves del sistema nervioso central, incluidas las dos formas de X-ALD (cALD y AMN) y la ataxia de Friedreich. Tiene un efecto **antioxidante, antiinflamatorio y neuroprotector**. Ha obtenido la designación de medicamento huérfano de la Comisión Europea y la FDA para la X-ALD, y el procedimiento rápido de la FDA para la X-ALD.

.....

### Sobre Minoryx Therapeutics

Minoryx ([www.minoryx.com](http://www.minoryx.com)) es una empresa especializada en el desarrollo de terapias innovadoras para enfermedades minoritarias del sistema nervioso central. Su principal programa es la leriglitzona (MIN-102), que se está evaluando para la X-ALD (incluye la AMN y cALD) y la ataxia de Friedreich. La compañía cuenta con el apoyo de inversores especializados (Caixa Capital Risc, Ysios Capital, HealthEquity, Kurma Partners, Chiesi Ventures, Roche Venture Fund, Idinvest Partners, Fund +, SRIW, Sambrinvest y SFPI-FPIM) y una red de entidades del sector. Fundada en 2011, Minoryx tiene su sede en el Tecnocampus Mataró y una filial en Bélgica, y ha conseguido una inversión de más de 50 millones de euros.

---

#### Para más información:

Gabinete de prensa (Gemma Escarré)  
[info@gemmaescarre.com](mailto:info@gemmaescarre.com) / M. 667 76 15 24

---