

Union Européenne : le leriglitzone désigné de médicament orphelin dans l'ataxie de Friedreich

Compte Test - 2019-11-19 10:44:48 - Vu sur pharmacie.ma

La société Minoryx Therapeutics vient d'annoncer que la Commission Européenne vient d'attribuer la désignation de médicament orphelin à son candidat médicament, le leriglitzone (MIN-102), dans la prise en charge de l'ataxie de Friedreich. L'ataxie de Friedreich est une maladie génétique neurodégénérative orpheline liée à une déficience en frataxine qui génère un dysfonctionnement mitochondrial qui s'accompagne d'une perte de coordination et de force musculaire qui touche une personne sur 40 000 dans le monde. Cette maladie se déclare entre 5 et 18 ans. Ce candidat médicament est un nouvel agoniste sélectif du PPAR gamma, biodisponible par voie orale et qui pénètre dans le cerveau. Il est capable d'engager le récepteur cible dans le système nerveux central. Des recherches ont mis en exergue l'effet antioxydant, anti-inflammatoire et neuroprotecteur de cette molécule qui améliore la fonction et la biogenèse mitochondriales, favorise la remyélinisation, facilite le métabolisme des lipides et retarde la progression de l'atteinte neurologique. Le leriglitzone est en cours de développement clinique avancé dans l'adrénomyélongueuropathie (AMN) et dans l'ataxie de Friedreich (FRDA).