

PRESSEMITTEILUNG

NEZGLYAL® (Leriglitazon) erhält eine positive Stellungnahme des CHMP zur Behandlung der zerebralen Adrenoleukodystrophie (cALD), einer seltenen neurodegenerativen Erkrankung

Empfehlung auf Grundlage der NEXUS-Daten: Minoryx und Neuraxpharm erwarten die Zulassung durch die Europäische Kommission bis Ende dieses Quartals

Düsseldorf, Deutschland, und Barcelona, Spanien – 24. Juli 2026 – Minoryx Therapeutics und die Neuraxpharm Group geben bekannt, dass der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) die Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen für NEZGLYAL® (Leriglitazon) empfohlen hat. Leriglitazon soll zur Behandlung männlicher Patienten im Alter von 2 bis 12 Jahren mit zerebraler Adrenoleukodystrophie (cALD) und Gadolinium-negativen Hirnläsionen angewendet werden. Die Zulassung durch die Europäische Kommission wird bis Ende September 2026 erwartet.

Die Stellungnahme basiert auf den Ergebnissen der Phase-2/3-Studie NEXUS¹ sowie auf zusätzlichen Real-World-Daten aus Compassionate-Use-Programmen. Die cALD ist eine schwerwiegende Erkrankung, die durch demyelinisierende Hirnläsionen gekennzeichnet ist und rasch fortschreiten kann, was innerhalb von drei bis vier Jahren zu einem akuten neurologischen Abbau und zum Tod der Betroffenen führt. Aktuell gibt es keine zugelassenen medikamentösen Therapien für cALD in der Europäischen Union.

“Die positive Stellungnahme des CHMP stellt eine regulatorische Bestätigung dar. Wir freuen uns sehr, dass wir Jungen mit cALD schon bald eine neue therapeutische Behandlungsoption zur Verfügung stellen können. Ich möchte diese Gelegenheit nutzen, um den behandelnden Ärztinnen und Ärzten, den Patienten, ihren Familien sowie der gesamten ALD-Community zu danken. Wir sind außerordentlich dankbar für die Unterstützung, die wir in all den Jahren erhalten haben,” sagte Marc Martinell, CEO von Minoryx. “Der Weg geht weiter – mit dem Ziel einer Zulassung in den USA sowie einer zukünftigen Erweiterung der europäischen Zulassung, basierend auf der laufenden CALYX²-Studie, in der wir weitere Daten bei erwachsenen männlichen cALD-Patienten mit Gadolinium-anreichernden Läsionen generieren.”

“cALD ist eine schwerwiegende neurogenerative Erkrankung, daher freuen wir uns, mit NEZGLYAL® den Patienten in Europa nach der Zulassung durch die Europäische Kommission eine lang erwartete Behandlung noch in diesem Jahr zur Verfügung zu stellen. Dies spiegelt das langjährige Engagement von Neuraxpharm wider, innovative Lösungen für Patienten mit Erkrankungen des zentralen Nervensystems (ZNS) und einem hohen medizinischen Bedarf bereitzustellen. Die Zusammenarbeit zwischen Neuraxpharm und strategischen Partnern wie Minoryx während des gesamten klinischen und regulatorischen Prozesses kann einen echten Mehrwert für die ZNS-Community schaffen. Wir werden Minoryx auch weiterhin unterstützen, während wir auf eine

zukünftige Erweiterung der europäischen Zulassung hinarbeiten,” sagte Dr. Jörg Thomas Dierks, CEO von Neuraxpharm.

Minoryx und Neuraxpharm haben eine Lizenzvereinbarung geschlossen, wonach Neuraxpharm das Produkt nach Erteilung der Marktzulassung in Europa vermarkten wird.

Das Entwicklungsprogramm wird fortgesetzt und umfasst die laufende Phase-3-Studie CALYX² bei erwachsenen männlichen cALD-Patienten mit Gadolinium-anreichernden Läsionen sowie die Phase-2a-Studie TREE³ bei pädiatrischen Patienten mit Rett-Syndrom. Die jeweiligen Studienergebnisse werden für die TREE-Studie Ende 2026 und für die CALYX-Studie Anfang 2028 erwartet.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

eickhoff kommunikation GmbH

Dr. Michael Bonk, Probsteigasse 15, 50670 Köln

Telefon +49 (0) 221-995951-40

bonk@eickhoff-kommunikation.de

IB Communications

minoryx@ibcomms.agency

Zur Stellungnahme des CHMP

Am 23. Juli 2026 empfahl der CHMP die Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen von NEZGLYAL[®] zur Behandlung der cALD bei männlichen Patienten mit Adrenoleukodystrophie (ALD) im Alter von 2 bis 12 Jahren, die in der Magnetresonanztomographie (MRT) des Gehirns keine Gadolinium-(Gd)-anreichernden Läsionen (d. h. Gd-negative Läsionen) aufweisen und einen Neurological Functional Score (NFS) von 0 oder 1 haben.

Es wird erwartet, dass die Europäische Kommission die Marktzulassung bis Ende September 2026 erteilt.

Weitere Informationen unter <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/nezglyal>

Zu Leriglitazon (NEZGLYAL[®])

Leriglitazon ist ein oral verfügbarer, gehirngängiger und selektiver PPAR-Gamma-Agonist von Minoryx Therapeutics, der für die Behandlung von Erkrankungen des zentralen Nervensystems (ZNS) entwickelt wird. Präklinische Studien in Tiermodellen verschiedener Erkrankungen lieferten einen Wirksamkeitsnachweis, indem Signalwege moduliert wurden, die zu Neuroinflammation, Demyelinisierung, mitochondrialer Dysfunktion, oxidativem Stress und axonaler Degeneration führen. In klinischen Studien zeigte der selektive PPAR-Gamma-Agonist einen klinischen Nutzen sowohl bei pädiatrischen cALD-Patienten in der NEXUS-Studie als auch bei erwachsenen cALD-

Patienten in der ADVANCE-Studie. Die Ergebnisse der NEXUS-Studie belegen, dass pädiatrische cALD-Patienten nach einer Behandlungszeit von mindestens 96 Wochen oder bis zu einem Besuch vor einer hämatopoetischen Stammzelltransplantation (HSCT) klinisch und radiologisch stabil blieben. Daten aus der ADVANCE-Studie zeigten zudem, dass Leriglitazon das Fortschreiten der cALD verlangsamt. Bis heute wurden mehr als 170 Patienten mit cALD behandelt. Leriglitazon erhielt von der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA sowie von der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) den Orphan-Drug-Status für X-ALD. Zusätzlich erteilte die FDA die Fast-Track-Designation sowie die Rare Pediatric Disease Designation für die Behandlung der X-ALD. In Europa besitzt Neuraxpharm die exklusiven Vermarktungsrechte.

Leriglitazon erhielt eine positive Stellungnahme des CHMP zur Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen in der Europäischen Union für die Behandlung der cALD bei männlichen Patienten mit Adrenoleukodystrophie (ALD) im Alter von 2 bis 12 Jahren, die in der Magnetresonanztomographie (MRT) des Gehirns keine Gadolinium-anreichernden Läsionen (d. h. Gd-negative Läsionen) aufweisen und einen Neurological Functional Score (NFS) von 0 oder 1 haben.

Über X-ALD und cALD

Die X-chromosomale Adrenoleukodystrophie (X-ALD) ist eine seltene neurodegenerative Erkrankung. Die weltweite Inzidenz von X-ALD liegt bei etwa 6–8 pro 100.000 Lebendgeburten. Bei Jungen und erwachsenen Männern mit X-ALD kann sich jederzeit im Verlauf des Lebens eine zerebrale Adrenoleukodystrophie (cALD) entwickeln. Diese ist durch demyelinisierende Hirnläsionen gekennzeichnet, die rasch fortschreiten können und zu einem akuten neurologischen Abbau sowie zum Tod führen. Diese Läsionen sind zunächst nicht Gadolinium-anreichernd (d. h. Gd-negativ) und werden mit ihrem Fortschreiten Gadolinium-anreichernd (d. h. Gd-positiv), was auf eine Schädigung der Blut-Hirn-Schranke hinweist. Das Fortschreiten der Läsionen verursacht schwerwiegende Symptome, wie den Verlust der willkürlichen Bewegungsfähigkeit, Schluckstörungen, Verlust der Kommunikationsfähigkeit, kortikale Blindheit, vollständige Inkontinenz sowie schließlich den Tod. Die durchschnittliche Überlebenszeit beträgt drei bis vier Jahre.

Die progressive Form der cALD tritt bei 31–35 % der Patienten mit Adrenoleukodystrophie (ALD) bereits im Kindesalter auf, typischerweise zwischen dem 2. und 12. Lebensjahr. Darüber hinaus entwickeln im Verlauf der Erkrankung bis zu 60 % der erwachsenen Patienten mit X-ALD eine progressive cALD.

Derzeit steht keine medikamentöse Behandlung für cALD zur Verfügung. Im Kindesalter kann eine hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSCT) das Fortschreiten der Erkrankung stoppen. Dabei handelt es sich jedoch um einen invasiven Eingriff, der nur für einen Teil der Patienten infrage kommt. Zudem ist eine gentherapiebasierte HSCT nicht weltweit verfügbar und erfordert eine myeloablative Chemotherapie, die mit erheblichen Begleiterkrankungen verbunden sein kann. Bei erwachsenen Patienten liegen nur begrenzte Erfahrungen mit HSCT vor, weshalb dieser Behandlungsansatz häufig nicht empfohlen wird.

Darüber hinaus entwickeln alle X-ALD-Patienten, die das Erwachsenenalter erreichen, eine Adrenomyeloneuropathie (AMN). Diese Verlaufsform schreitet chronisch fort, und cALD-Patienten mit fortgeschrittener AMN kommen aufgrund der ungünstigen Prognose dieser Behandlung in der Regel nicht für eine HSCT infrage.

Über Minoryx

Minoryx Therapeutics ist ein Biotechnologieunternehmen in der Zulassungsphase, das sich auf die Entwicklung neuartiger Therapien für seltene Erkrankungen des zentralen Nervensystems (ZNS) mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf spezialisiert hat. Das führende Entwicklungsprogramm des Unternehmens ist Leriglitazon, ein neuartiger, gehirngängiger und selektiver PPAR-Gamma-Agonist, der zur Behandlung der X-chromosomalen Adrenoleukodystrophie (X-ALD) sowie weiterer seltener ZNS-Erkrankungen entwickelt wird. Das Unternehmen wird von einem Konsortium erfahrener Investoren unterstützt, darunter Columbus Venture Partners, CDTI Innvierte, Criteria BioVentures, Fund+, Ysios Capital, Roche Venture Fund, Kurma Partners, Chiesi Ventures, S.R.I.W., Idinvest Partners / Eurazeo, SFPI-FPIM, HealthEquity, und Sambrinvest, und profitiert darüber hinaus von der Unterstützung eines Netzwerks weiterer Organisationen.

Minoryx wurde 2011 gegründet, hat seinen Hauptsitz in Spanien sowie Einrichtungen in Belgien und hat bislang mehr als 150 Millionen Euro an Finanzierungsmitteln eingeworben.

Für weitere Informationen besuchen Sie bitte <https://www.minoryx.com/>

Über Neuraxpharm Group

Neuraxpharm ist ein führendes europäisches Pharmaunternehmen, das sich auf die Behandlung des zentralen Nervensystems (ZNS), einschließlich psychiatrischer und neurologischer Erkrankungen, spezialisiert hat. Dabei verfügt das Unternehmen über ein einzigartiges Verständnis des ZNS-Marktes.

Neuraxpharm ist ständig auf der Suche nach neuen Produkten und Lösungen für ungedeckte Patientenbedürfnisse und erweitert sein Portfolio durch seine Pipeline, Partnerschaften und Übernahmen.

Das Unternehmen beschäftigt mehr als 1.000 Mitarbeiter und entwickelt und vertreibt ZNS-Produkte über eine direkte Präsenz in mehr als 20 Ländern in Europa, zwei in Lateinamerika, eins im Mittleren Osten, in Australien und weltweit über Partner in mehr als 50 Ländern. Neuraxpharm wird von Fonds unterstützt, die von Permira beraten werden.

Neuraxpharm stellt viele seiner pharmazeutischen Produkte bei Neuraxpharm Pharmaceuticals in Spanien her.

Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.neuraxpharm.com.

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen, die Risiken und Unsicherheiten beinhalten und dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse wesentlich von den hierin beschriebenen Erwartungen abweichen.

¹ NEXUS, eine offene klinische Phase-2/3-Studie, die darauf ausgelegt ist, die Wirksamkeit und Sicherheit von Leriglitazon bei männlichen pädiatrischen Patienten mit cALD im Frühstadium zu bewerten.
<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2019-000654-59>

² CALYX, eine multizentrische, randomisierte (1:1), doppelblinde, placebokontrollierte klinische Phase-3-Studie zur Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit von Leriglitazon bei erwachsenen männlichen Patienten mit fortschreitender zerebraler Adrenoleukodystrophie (cALD)
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05819866>

³ TREE, eine randomisierte (1:1), doppelblinde, placebokontrollierte klinische Phase-2a-Studie zur Bewertung der Sicherheit (und Wirksamkeit) von Leriglitazon bei pädiatrischen Patientinnen mit Rett-Syndrom.
<https://euclinicaltrials.eu/ctis-public/view/2024-514684-26-00?lang=en>