

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

**NEZGLYAL® (leriglitzazone) reçoit un avis favorable du CHMP,
pour le traitement de l'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD),
une maladie neurodégénérative rare**

**Décision fondée sur les données de l'étude NEXUS ; Minoryx
et Neuraxpharm prévoient une approbation par la Commission européenne
d'ici la fin de ce trimestre**

Barcelone, Espagne, et Düsseldorf, Allemagne – 24 Juillet, 2026 – Minoryx Therapeutics et le Groupe Neuraxpharm annoncent que le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a rendu un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché sous circonstances exceptionnelles pour NEZGLYAL® (leriglitzazone) en tant que traitement destiné aux patients de sexe masculin atteints d'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD), âgés de 2 à 12 ans et présentant des lésions cérébrales négatives au Gadolinium (Gd). L'approbation de la Commission européenne est attendue d'ici la fin du mois de septembre 2026.

L'avis est fondé sur les résultats de l'étude de phase 2/3 NEXUS¹ ainsi que sur des données complémentaires issues de l'expérience en vie réelle provenant de programmes d'usage compassionnel. L'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD) est une maladie invalidante caractérisée par des lésions cérébrales démyélinisantes pouvant évoluer rapidement et entraîner une détérioration neurologique aiguë ainsi que le décès dans un délai de trois à quatre ans. Il n'existe actuellement aucun traitement pharmacologique approuvé pour la cALD au sein de l'UE.

“Cet avis positif du CHMP constitue une validation réglementaire et nous sommes très heureux de pouvoir bientôt proposer une nouvelle option thérapeutique aux garçons atteints de cALD. Je tiens à profiter de cette occasion pour remercier les médecins, les patients, leurs familles ainsi que l'ensemble de la communauté ALD. Nous sommes extrêmement reconnaissants pour le soutien que nous avons reçu tout au long de ces années”, a déclaré Marc Martinell, directeur général de Minoryx.

“Le parcours se poursuit vers une approbation aux États-Unis et un élargissement des indications en Europe, alors que nous générons de nouvelles données chez des patients adultes de sexe masculin atteints de cALD et présentant des lésions rehaussées au Gadolinium dans le cadre de l'essai CALYX² en cours”.

“La cALD est une maladie neurodégénérative grave et nous sommes impatients de mettre NEZGLYAL®, un traitement tant attendu, à la disposition des patients européens après son autorisation par la Commission européenne dans le courant de cette année. Cette avancée reflète l'engagement durable de Neuraxpharm à proposer des solutions innovantes aux patients atteints de maladies du système nerveux central (SNC) présentant d'importants besoins médicaux non satisfaits. Les collaborations entre Neuraxpharm et des partenaires stratégiques

tels que Minoryx tout au long du processus clinique et réglementaire peuvent avoir un impact concret pour les patients atteints de maladies du SNC. Nous restons engagés à soutenir Minoryx dans la perspective d'un futur élargissement de l'indication en Europe ", a déclaré le Dr Jörg Thomas Dierks, CEO du Groupe Neuraxpharm.

Minoryx et Neuraxpharm ont conclu un accord de licence en vertu duquel Neuraxpharm commercialisera le produit en Europe après l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché.

Le programme de développement se poursuit, notamment avec l'essai clinique de phase 3, CALYX, en cours chez des patients adultes de sexe masculin atteints de cALD, présentant des lésions rehaussées par le Gadolinium (Gd +), ainsi qu'avec l'essai de phase 2a TREE³ chez des patients pédiatriques atteints du syndrome de Rett. Les résultats de ces études sont attendus respectivement au début de l'année 2028 et à la fin de l'année 2026.

Pour toute information complémentaire, veuillez contacter :

Agence JIN

Valentine Martin – vmartin@jin.fr – 06 32 29 43 82

Théo Cusson – tcusson@jin.fr

A propos de l'avis du CHMP

Le 23 juillet 2026, le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) a adopté un avis favorable recommandant l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché à titre exceptionnel pour le médicament NEZGLYAL®, indiqué dans le traitement de l'adrénoleucodystrophie cérébrale, chez les garçons atteints d'adrénoleucodystrophie (ALD) âgés de 2 à 12 ans présentant des lésions non rehaussées au Gadolinium (Gd) (c'est-à-dire Gd-négatives) à l'imagerie par résonance magnétique cérébrale (IRM), et dont le score fonctionnel neurologique (NFS) est de 0 ou 1.

La Commission européenne devrait accorder l'autorisation de mise sur le marché d'ici la fin du mois de septembre 2026.

Pour plus d'informations, veuillez consulter le site [Nezgllyal | Agence européenne des médicaments \(EMA\)](#)

A propos de la leriglitazone (NEZGLYAL®)

La leriglitazone est un agoniste sélectif du PPAR gamma, biodisponible par voie orale et capable de pénétrer dans le cerveau, développé par Minoryx Therapeutics pour le traitement des maladies du système nerveux central (SNC). Des études précliniques ont démontré une preuve de concept dans plusieurs modèles animaux de maladies en modulant les voies impliquées dans la neuro-inflammation, la démyélinisation, le dysfonctionnement mitochondrial, le stress oxydatif et la dégénérescence axonale. Dans les essais cliniques, la leriglitazone a montré un bénéfice clinique à la fois chez les patients pédiatriques atteints de cALD dans l'étude NEXUS et chez les patients adultes atteints de

cALD dans l'étude ADVANCE. Les résultats de l'étude NEXUS ont démontré que les patients pédiatriques atteints de cALD restaient stables sur les plans clinique et radiologique après plus de 96 semaines de traitement ou lors d'une visite précédant une transplantation de cellules souches hématopoïétiques (HSCT). Les données de l'étude ADVANCE ont montré que la leriglitzone réduisait la progression de la cALD. A ce jour, plus de 170 patients atteints de cALD ont reçu ce traitement. La leriglitzone a obtenu la désignation de médicament orphelin pour l'adrénoleucodystrophie liée à l'X (X-ALD) auprès de la FDA et de l'EMA, ainsi que les désignations Fast Track et Rare Pediatric Disease de la FDA pour le traitement de la X-ALD. En Europe, la leriglitzone fait l'objet d'une licence exclusive accordée à Neuraxpharm.

La leriglitzone a reçu un avis favorable, sous circonstances exceptionnelles, de la part du CHMP dans l'Union européenne pour le traitement de l'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD) chez les garçons atteints d'adrénoleucodystrophie (ALD) âgés de 2 à 12 ans présentant des lésions ne s'intensifiant pas au Gadolinium (Gd) (c'est-à-dire Gd-négatives) à l'imagerie par résonance magnétique (IRM) cérébrale, avec un fonctionnel (NFS) de 0 ou 1.

A propos de l'X-ALD et de la cALD

L'adrénoleucodystrophie liée à l'X (X-ALD) est une maladie neurodégénérative rare. Son incidence mondiale est estimée à environ 6 à 8 cas pour 100 000 naissances. Les garçons et les hommes adultes atteints de X-ALD peuvent développer, à tout moment de leur vie, une adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD), caractérisée par des lésions cérébrales démyélinisantes pouvant évoluer rapidement et entraîner une détérioration neurologique aiguë ainsi que le décès. Ces lésions sont initialement non rehaussées par le Gadolinium (c'est-à-dire Gd négatives) puis deviennent rehaussées par le Gadolinium (Gd positives) à mesure que la maladie progresse, ce qui reflète une altération de la barrière hémato-encéphalique. La progression des lésions provoque des symptômes sévères tels que la perte des mouvements volontaires, l'incapacité à avaler, la perte de la communication, la cécité corticale, l'incontinence totale et, finalement, le décès. La survie moyenne est de trois à quatre ans.

La cALD progressive survient chez 31 à 35 % des patients atteints d'ALD pendant l'enfance, avec un début généralement observé entre 2 et 12 ans. Chez les adultes atteints d'X-ALD, jusqu'à 60 % développeront une cALD progressive au cours de leur vie. A l'heure actuelle, aucun traitement pharmacologique n'est disponible pour la cALD. Chez l'enfant, la transplantation de cellules souches hématopoïétiques (HSCT) peut arrêter l'évolution de la maladie. Toutefois, il s'agit d'un protocole invasif, accessible uniquement à une partie des patients. Les HSCT reposant sur une thérapie génique ne sont pas disponibles dans le monde entier et nécessitent une chimiothérapie myélo-ablative associée à des comorbidités importantes. Chez les patients adultes, l'expérience clinique avec la HSCT est très limitée et cette intervention n'est souvent pas recommandée.

De plus, tous les patients ayant une adrénoleucodystrophie liée à l'X (X-ALD) qui atteignent l'âge adulte développent une adrénomyéloneuropathie (AMN). Cette forme évolue de manière chronique et les patients atteints de cALD présentant une AMN avancée ne sont généralement pas éligibles à une transplantation de cellules souches hématopoïétiques (HSCT) en raison du pronostic défavorable associé à ce traitement.

A propos de Minoryx

Minoryx Therapeutics est une société biotechnologique avec des produits en phase d'enregistrement, spécialisée dans le développement de nouvelles thérapies pour les maladies rares du système nerveux central (SNC) présentant d'importants besoins médicaux non satisfaits. Son principal programme de développement, la leriglitzone, un agoniste sélectif novateur du PPAR gamma capable de pénétrer dans le cerveau, est développé pour le traitement de l'adrénoleucodystrophie liée à l'X (X-ALD) ainsi que d'autres maladies rares du SNC. Minoryx Therapeutics est soutenue par un consortium d'investisseurs expérimentés, comprenant 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, et Sambrinvest, et bénéficie également du soutien d'un réseau d'autres organisations.

Minoryx, société fondée en 2011, dont le siège social est en Espagne, est également implantée en Belgique et a levé plus de 150 millions d'euros de financements à ce jour.

Pour plus d'informations, veuillez consulter le site de Minoryx Therapeutics : <https://www.minoryx.com/>.

A propos du Groupe Neuraxpharm

Neuraxpharm est une entreprise pharmaceutique européenne de premier plan spécialisée dans le traitement des maladies du système nerveux central (SNC), notamment les troubles psychiatriques et neurologiques, bénéficiant d'une connaissance unique du marché du SNC.

Neuraxpharm développe en permanence de nouveaux produits et solutions afin de répondre aux besoins médicaux non satisfaits des patients. L'entreprise continue également d'élargir son portefeuille grâce à son pipeline de développement, à des partenariats stratégiques et à des acquisitions, dans le domaine des maladies rares.

L'entreprise qui compte plus de 1 000 collaborateurs, développe et commercialise des produits destinés au système nerveux central (SNC) grâce à une présence directe dans plus de 20 pays en Europe, dans deux pays d'Amérique latine, dans un pays du Moyen-Orient, en Australie, ainsi qu'au niveau mondial par l'intermédiaire de partenaires présents dans plus de 50 pays. Neuraxpharm est soutenue par des fonds conseillés par Permira.

Neuraxpharm fabrique une grande partie de ses produits pharmaceutiques au sein de Neuraxpharm Pharmaceuticals, en Espagne.

Pour plus d'informations, veuillez consulter le site du Groupe Neuraxpharm : www.neuraxpharm.com

Déclarations prospectives

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives qui comportent des risques et des incertitudes susceptibles d'entraîner des écarts significatifs entre les résultats réels et ceux exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations.

Sources :

¹ NEXUS, a phase 2/3, open-label clinical study designed to assess the efficacy and safety of leriglitazone in male paediatric patients with early stage cALD. <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2019-000654-59>

² CALYX, a phase 3, multicentre, randomised (1:1), double-blind, placebo-controlled, clinical study, designed to compare the efficacy and safety of leriglitazone in male adult patients with progressive cALD. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05819866>

³ TREE, a phase 2a, randomised (1:1), double-blind, placebo-controlled, clinical study, designed to evaluate the safety (and efficacy) of leriglitazone in paediatric female patients with Rett syndrome. <https://euclinicaltrials.eu/ctis-public/view/2024-514684-26-00?lang=en>