

COMUNICATO STAMPA

Il presente comunicato stampa è destinato esclusivamente alla stampa medica specializzata

NEZGLYAL® (leriglitzazione) riceve il parere positivo del CHMP per il trattamento dell'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD), una malattia neurodegenerativa rara

La raccomandazione si basa sui dati dello studio NEXUS; il parere positivo del CHMP sarà sottoposto alla Commissione Europea per la decisione finale

Barcellona, Spagna, e Düsseldorf, Germania – 24 luglio 2026 – Minoryx Therapeutics e il Gruppo Neuraxpharm annunciano che il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha espresso un parere positivo raccomandando il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio in circostanze eccezionali per NEZGLYAL® (leriglitzazione) come trattamento per i pazienti maschi di età compresa tra 2 e 12 anni, affetti da adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD), con lesioni cerebrali negative al Gadolinio (Gd). La decisione finale della Commissione Europea è attesa entro la fine di settembre 2026.

Il parere del CHMP si basa sui risultati dello studio di Fase 2/3 NEXUS¹ e su ulteriori evidenze *real-world* provenienti da programmi di uso compassionevole. L'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD) è una malattia invalidante, caratterizzata dalla presenza di lesioni cerebrali demielinizzanti che possono progredire rapidamente, causando un deterioramento neurologico acuto e portando al decesso in tre o quattro anni. Attualmente non esistono trattamenti farmacologici approvati per la cALD nell'Unione Europea.

“Il parere positivo del CHMP rappresenta una conferma da parte delle Autorità regolatorie e siamo molto lieti di poter offrire presto una nuova soluzione farmacologica ai bambini e ragazzi affetti da cALD. Desidero cogliere questa occasione per ringraziare i medici, i pazienti, le loro famiglie e l'intera comunità ALD: siamo profondamente grati per il supporto ricevuto nel corso di questi anni”, ha dichiarato **Marc Martinell, CEO di Minoryx**. *“Il percorso prosegue verso l'approvazione negli Stati Uniti e verso un futuro ampliamento dell'indicazione in Europa, mentre continuiamo a generare nuovi dati nei pazienti adulti di sesso maschile affetti da cALD con lesioni captanti il Gadolinio, nell'ambito dello studio CALYX² attualmente in corso”.*

“La cALD è una grave patologia neurodegenerativa e attendiamo con fiducia di poter rendere disponibile NEZGLYAL®, un trattamento atteso da lungo tempo, per i pazienti europei a seguito dell'approvazione della Commissione Europea prevista più avanti nel corso dell'anno. Questo traguardo riflette il costante impegno di Neuraxpharm nel fornire soluzioni innovative ai pazienti affetti da patologie del sistema nervoso centrale (SNC) con significativi bisogni terapeutici ancora insoddisfatti. Le collaborazioni tra Neuraxpharm e partner strategici come Minoryx, lungo l'intero percorso clinico e regolatorio, possono generare un impatto concreto per la comunità che opera nell'ambito delle patologie del SNC. Confermiamo l'impegno e il sostegno al nostro partner Minoryx mentre guardiamo al futuro ottenimento di un ampliamento dell'indicazione terapeutica in Europa”, ha osservato il **Dr. Jörg Thomas Dierks, CEO di Neuraxpharm**.

Minoryx e Neuraxpharm hanno stipulato un accordo di licenza in base al quale Neuraxpharm commercializzerà il prodotto in Europa una volta ottenuta l'autorizzazione all'immissione in commercio.

Il programma di sviluppo prosegue, includendo lo studio di Fase 3 CALYX, attualmente in corso, in pazienti adulti di sesso maschile affetti da cALD con lesioni captanti il Gadolinio, e lo studio di Fase 2a

TREE³ in pazienti pediatrici affetti dalla sindrome di Rett. I risultati preliminari sono attesi rispettivamente entro l'inizio del 2028 e la fine del 2026.

Per ulteriori informazioni, si prega di contattare:

Value Relations

Francesca Alibrandi

Tel: 335 8368826

f.alibrandi@vrelations.it

IB Communications

minoryx@ibcomms.agency

Informazioni sul parere del CHMP

Il 23 luglio 2026, il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) ha espresso un parere positivo raccomandando la concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio in circostanze eccezionali per il medicinale NEZGLYAL®, destinato al trattamento dell'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD) nei pazienti di sesso maschile di età compresa tra 2 e 12 anni, affetti da adrenoleucodistrofia (ALD), con lesioni cerebrali non captanti il Gadolinio (Gd) (ossia Gd-negative) alla risonanza magnetica cerebrale (MRI) e con un Neurological Functional Score (NFS) pari a 0 o 1.

La decisione finale della Commissione Europea relativa all'Autorizzazione all'Immissione in Commercio è attesa entro la fine di settembre 2026.

Per ulteriori informazioni, visitare: [Nezglyal | European Medicines Agency \(EMA\)](#)

Informazioni su leriglitazone (NEZGLYAL®)

Leriglitazone è un agonista selettivo del recettore PPAR gamma, biodisponibile per via orale e in grado di attraversare la barriera ematoencefalica, sviluppato da Minoryx Therapeutics per le patologie del sistema nervoso centrale (SNC). È stato valutato in programmi non clinici e clinici relativi alla cALD, tra cui NEXUS e ADVANCE. Ad oggi, oltre 170 pazienti affetti da cALD hanno ricevuto il trattamento. Leriglitazone ha ottenuto la designazione di farmaco orfano per l'X-ALD sia dalla FDA sia dall'EMA, nonché le designazioni Fast Track e Rare Pediatric Disease da parte della FDA per il trattamento dell'X-ALD. In Europa, i diritti di commercializzazione sono concessi in licenza esclusiva a Neuraxpharm.

Leriglitazone ha ricevuto un parere positivo in circostanze eccezionali dal CHMP nell'Unione Europea per il trattamento dell'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD) nei pazienti di sesso maschile di età compresa tra 2 e 12 anni, affetti da adrenoleucodistrofia (ALD), con lesioni cerebrali non captanti il Gadolinio (Gd) (ossia Gd-negative) alla risonanza magnetica cerebrale (MRI) e con un Neurological Functional Score (NFS) pari a 0 o 1.

Informazioni su X-ALD e cALD

L'adrenoleucodistrofia legata al cromosoma X (X-ALD) è una rara malattia neurodegenerativa. L'incidenza globale della X-ALD è stimata in circa 6-8 casi ogni 100.000 nati vivi. I bambini e gli uomini adulti affetti da X-ALD possono sviluppare, in qualsiasi momento della vita, l'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD), caratterizzata dalla comparsa di lesioni cerebrali demielinizzanti che possono evolvere rapidamente, causando un deterioramento neurologico acuto e, infine, il decesso. Nelle fasi iniziali, tali lesioni non captano il Gadolinio (ossia Gd-negative); con la progressione della malattia diventano captanti il Gadolinio (Gd-positive), riflettendo quindi un danno alla barriera ematoencefalica. La progressione delle lesioni può determinare sintomi gravi, tra cui perdita dei movimenti volontari, incapacità di deglutire, perdita della capacità di comunicare, cecità corticale, incontinenza totale e morte, con una sopravvivenza media di tre o quattro anni.

La cALD progressiva si manifesta nel 31-35% dei pazienti affetti da ALD durante l'infanzia, con un esordio tipico tra i 2 e i 12 anni di età, mentre fino al 60% degli adulti affetti da X-ALD svilupperà una

forma progressiva di cALD nel corso della vita. Attualmente non è disponibile alcun trattamento farmacologico per la cALD. Nell'infanzia, il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) può arrestare la malattia in alcuni pazienti candidabili. Si tratta di una procedura invasiva e disponibile solo per una parte dei pazienti. Le terapie geniche basate su HSCT non sono disponibili a livello globale e richiedono chemioterapia mieloablative. Negli adulti, l'esperienza con l'HSCT è molto limitata e questo intervento spesso non è raccomandato.

Inoltre, tutti i pazienti affetti da X-ALD che raggiungono l'età adulta sviluppano l'adrenomieloneuropatia (AMN). Questa forma della malattia presenta una progressione cronica e i pazienti con cALD e AMN in stadio avanzato sono in gran parte non idonei al trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT), a causa della prognosi sfavorevole associata a tale trattamento.

Informazioni su Minoryx

Minoryx Therapeutics è una società biotecnologica in fase di registrazione (registration-stage biotech company) focalizzata sullo sviluppo di terapie innovative per malattie rare del sistema nervoso centrale (SNC) caratterizzate da elevati bisogni medici ancora insoddisfatti. Il programma di sviluppo più avanzato dell'azienda è leriglitazone, un agonista selettivo e innovativo del recettore PPAR gamma in grado di attraversare la barriera ematoencefalica, attualmente in fase di sviluppo per il trattamento dell'adrenoleucodistrofia legata al cromosoma X (X-ALD) e di altre malattie rare del SNC. L'azienda è sostenuta da un consorzio di investitori di grande esperienza, tra cui 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, e Sambrinvest, oltre al supporto di una rete di altre organizzazioni e partner strategici.

Minoryx è stata fondata nel 2011, ha sede in Spagna e dispone di strutture operative anche in Belgio. Ad oggi, l'azienda ha raccolto oltre 150 milioni di euro di finanziamenti a sostegno dello sviluppo della propria pipeline di terapie innovative per malattie rare del sistema nervoso centrale.

Per ulteriori informazioni, visitare <https://www.minoryx.com/>.

Informazioni sul Gruppo Neuraxpharm

Neuraxpharm è una delle principali aziende farmaceutiche europee specializzata nel trattamento delle patologie del sistema nervoso centrale (SNC), comprendendo disturbi sia psichiatrici sia neurologici, con una conoscenza unica del mercato del SNC.

Neuraxpharm innova costantemente, sviluppando nuovi prodotti e soluzioni volti a rispondere ai bisogni terapeutici ancora insoddisfatti dei pazienti, ampliando il proprio portafoglio attraverso la pipeline di sviluppo, partnership e acquisizioni, anche nell'ambito delle malattie rare.

L'azienda conta oltre 1.000 dipendenti, sviluppa e commercializza prodotti per il SNC tramite una presenza diretta in più di 20 Paesi in Europa, due in America Latina, uno in Medio Oriente, in Australia e a livello globale tramite partner presenti in oltre 50 Paesi. Neuraxpharm è sostenuta da fondi consigliati da Permira. Neuraxpharm produce molti dei suoi prodotti farmaceutici presso Neuraxpharm Pharmaceuticals in Spagna. Per maggiori informazioni, visitare il sito <https://www.neuraxpharm.com/it>

Dichiarazioni previsionali

Il presente comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali (*forward-looking statements*) che comportano rischi e incertezze e che potrebbero determinare risultati effettivi sostanzialmente diversi.

¹ NEXUS, uno studio clinico di Fase 2/3, in aperto (*open-label*), progettato per valutare l'efficacia e la sicurezza di leriglitazone in pazienti pediatrici di sesso maschile affetti da cALD in fase iniziale. <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2019-000654-59>

² CALYX, uno studio clinico di Fase 3, multicentrico, randomizzato (1:1), in doppio cieco e controllato con placebo, progettato per confrontare l'efficacia e la sicurezza di leriglitazone in pazienti adulti di sesso maschile affetti da cALD progressiva. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05819866>

³ TREE, uno studio clinico di Fase 2a, randomizzato (1:1), in doppio cieco e controllato con placebo, progettato per valutare la sicurezza (e l'efficacia) di leriglitazone in pazienti pediatriche affette dalla sindrome di Rett. <https://euclinicaltrials.eu/ctis-public/view/2024-514684-26-00?lang=en>