
PRESSEMITTEILUNG

Die Europäische Kommission erteilt die Zulassung für NEZGLYAL® (Leriglitzon) als erste zugelassene pharmakologische Behandlung der zerebralen Adrenoleukodystrophie (cALD), einer seltenen neurodegenerativen Erkrankung

*Die Zulassung basiert auf den Daten der NEXUS-Studie und folgt auf die positive
Stellungnahme des CHMP im Juli. Die erste Markteinführung in Europa wird bis Ende
2026 erwartet.*

Barcelona, Spanien und Düsseldorf, Deutschland – 25. September 2026 – Die Neuraxpharm Group und Minoryx Therapeutics geben heute bekannt, dass die Europäische Kommission die Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen für NEZGLYAL® (Leriglitzon) erteilt hat. Leriglitzon ist ein oral verfügbarer selektiver PPAR-Gamma-Agonist, der die Blut-Hirn-Schranke passieren kann und zur Behandlung männlicher Patienten im Alter von 2 bis 12 Jahren mit zerebraler Adrenoleukodystrophie (cALD) und mit Gadolinium (Gd)-negativen Hirnläsionen angewendet wird.

Die Therapie ist die erste in der Europäischen Union zugelassene pharmakologische Behandlung der cALD. Die Zulassung basiert auf den Ergebnissen der Phase 2/3 Studie NEXUS¹, sowie auf zusätzlichen Real-World-Daten aus Compassionate-Use-Programmen.

Die erste europäische Markteinführung wird bis Ende des Jahres in Deutschland erwartet. Der Zeitpunkt weiterer Markteinführungen in Europa hängt vom Abschluss der nationalen Erstattungsverhandlungen ab.

„Bei der kindlichen cALD sind einmal eingetretene neurodegenerative Schäden irreversibel. Daher ist es entscheidend, das Fortschreiten der Erkrankung so früh wie möglich aufzuhalten – idealerweise noch bevor klinische Symptome auftreten. Bislang standen für eine solche frühe Intervention keine pharmakologischen Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung. Für Patienten mit bereits fortgeschrittener Erkrankung gibt es zwar invasive Therapieoptionen, diese sind jedoch von der Verfügbarkeit eines geeigneten Spenders abhängig und können nur innerhalb eines sehr engen therapeutischen Zeitfensters eingesetzt werden“, sagte Universitätsprofessor Dr. med. Hendrik Rosewich, Ärztlicher Direktor der Abteilung III der Universitätskinderklinik in Tübingen. „Dass nun erstmals eine pharmakologische Therapie zur frühzeitigen Intervention bei cALD zur Verfügung steht, stellt einen bedeutenden Fortschritt in der Behandlung dieser schwerwiegenden Erkrankung dar.“

“Die cALD ist eine rasch fortschreitende neurodegenerative Erkrankung, die das Leben der Patienten und ihrer Familien erheblich beeinträchtigt. Es besteht dringender Bedarf an Therapien, die das Fortschreiten der Erkrankung aufhalten oder verlangsamen und die Lebensqualität verbessern können,” sagte Dr. Jörg Thomas Dierks, CEO von Neuraxpharm. “Die heutige

Meldung unterstreicht das Engagement von Neuraxpharm, die Entwicklung innovativer Arzneimittel für Erkrankungen des zentralen Nervensystems (ZNS) mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf voranzutreiben. Wir freuen uns darauf, mit den lokalen Behörden sowie der medizinischen Gemeinschaft und Patientenorganisationen zusammenzuarbeiten, um NEZGLYAL® berechtigten Patienten in der gesamten Region so schnell wie möglich zugänglich zu machen."

*"Diese Zulassung stellt einen bedeutenden Meilenstein für die cALD-Community dar und würdigt die jahrelange bahnbrechende Forschung sowie die enge Zusammenarbeit zwischen Klinikern und Patientenorganisationen. Für deren fortwährende Unterstützung sind wir sehr dankbar," sagte **Marc Martinell, CEO von Minoryx**. "Unsere Entwicklungsaktivitäten werden fortgesetzt, während wir weitere Daten generieren, um das Anwendungsgebiet innerhalb der X-ALD sowie auf weitere seltene Indikationen auszuweiten."*

Die cALD ist eine schwerwiegende neurodegenerative Erkrankung, die durch demyelinisierende Hirnläsionen gekennzeichnet ist, welche rasch fortschreiten können und innerhalb von drei bis vier Jahren zu einem akuten neurologischen Abbau und zum Tod führen können. Sie betrifft überwiegend das Gehirn und stellt eine aggressive Form der X-chromosomalen Adrenoleukodystrophie (X-ALD) dar, deren Inzidenz bei etwa 6 bis 8 Fällen pro 100.000 Lebendgeburten liegt.

NEZGLYAL® (Leriglitzon) ist ein Arzneimittel zur täglichen oralen Einnahme und bietet eine nicht-invasive, krankheitsmodifizierende Behandlungsoption für cALD bei Gd-negativen Kindern.

Die Zulassung der Europäischen Kommission gilt in allen 27 Mitgliedstaaten der Europäischen Union sowie in Norwegen, Island und Liechtenstein.

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

Das Entwicklungsprogramm wird fortgesetzt: Die Rekrutierung für die Phase-3-Studie CALYX² bei erwachsenen männlichen cALD-Patienten mit Gadolinium (Gd)-aufnehmenden Läsionen ist nun abgeschlossen. Darüber hinaus läuft die Phase-2a-Studie TREE³ bei pädiatrischen Patienten mit Rett-Syndrom weiterhin. Die Ergebnisse werden voraussichtlich Anfang 2028 beziehungsweise bis Ende 2026 erwartet.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

eickhoff kommunikation GmbH

Alina Maas / Dr. Michael Bonk, Probsteigasse 15, 50670 Köln

Telefon +49 (0) 221-995951-15 / 40

maas@eickhoff-kommunikation.de

bonk@eickhoff-kommunikation.de

IB Communications

minorityx@ibcomms.agency

Über die Zulassung durch die Europäische Kommission

Am 21. September 2026 erteilte die Europäische Kommission die Zulassung für NEZGLYAL® (Leriglitzon). Am 23. Juli 2026 verabschiedete der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) eine [positive Stellungnahme](#), in der die Erteilung einer Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen für NEZGLYAL® empfohlen wurde. Das Arzneimittel ist zur Behandlung der zerebralen Adrenoleukodystrophie (cALD) bei männlichen Patienten mit Adrenoleukodystrophie (ALD) im Alter von 2 bis 12 Jahren indiziert, die in der Magnetresonanztomographie (MRT) des Gehirns keine Gadolinium (Gd)-aufnehmenden Läsionen (d. h. Gd-negative Läsionen) aufweisen und einen Neurological Functional Score (NFS) von 0 oder 1 haben.

Für weitere Informationen besuchen Sie [Nezgllyal | European Medicines Agency \(EMA\)](#)

Zu NEZGLYAL® (Leriglitzon)

Leriglitzon ist ein oral verfügbarer, die Blut-Hirn-Schranke passierender, selektiver PPAR-Gamma-Agonist, der von Minoryx entwickelt wurde und als erste pharmakologische Behandlung der zerebralen Adrenoleukodystrophie (cALD) in der Europäischen Union zugelassen ist. Die Zulassung gilt für männliche cALD-Patienten im Alter von 2 bis 12 Jahren mit Gadolinium (Gd)-negativen Hirnläsionen in der Magnetresonanztomographie (MRT) des Gehirns sowie einem Neurological Functional Score (NFS) von 0 oder 1. In klinischen Studien zeigte Leriglitzon sowohl bei pädiatrischen cALD-Patienten in der klinischen Studie NEXUS¹ als auch bei erwachsenen cALD-Patienten in der Studie ADVANCE⁴ einen klinischen Nutzen. Die Ergebnisse der NEXUS-Studie belegen, dass pädiatrische cALD-Patienten nach mehr als 96 Behandlungswochen oder bei einem Besuch vor einer hämatopoetischen Stammzelltransplantation (HSCT) klinisch und radiologisch stabil blieben. Die Daten der ADVANCE-Studie zeigten, dass Leriglitzon das Fortschreiten der cALD verringerte. Bis heute wurden mehr als 170 cALD-Patienten mit Leriglitzon behandelt. Leriglitzon erhielt sowohl von der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA als auch von der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) den Orphan-Drug-Status für X-ALD. Darüber hinaus gewährte 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 für Leriglitzon. Detaillierte Empfehlungen zur Anwendung von NEZGLYAL® sind in der Fachinformation (Summary of Product Characteristics, SmPC) beschrieben, die auf der Website der EMA in allen Amtssprachen der Europäischen Union verfügbar ist.

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 Fällen pro 100.000 Lebendgeburten. Jungen und erwachsene Männer mit X-ALD können zu jedem Zeitpunkt ihres 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 können. Diese Läsionen sind zunächst nicht Gadolinium (Gd)-aufnehmend (d. h. Gd-negativ). Mit fortschreitender Erkrankung werden sie Gadolinium-aufnehmend (d. h. Gd-positiv), was auf eine Schädigung der Blut-Hirn-Schranke hinweist. Das Fortschreiten der Läsionen verursacht schwere Symptome wie den Verlust der willkürlichen Bewegungsfähigkeit, Schluckstörungen, Verlust der Kommunikationsfähigkeit,

kortikale Blindheit, vollständige Inkontinenz und schließlich den Tod. Die durchschnittliche Überlebenszeit beträgt drei bis vier Jahre.

cALD mit Gd-positiven Läsionen tritt bei 31 bis 35 % der ALD-Patienten im Kindesalter auf, typischerweise zwischen dem 2. und 12. Lebensjahr auf. Darüber hinaus entwickeln im Verlauf der Erkrankung bis zu 60 % der erwachsenen Patienten mit X-ALD eine cALD mit Gd-positiven Läsionen. Leriglitazon ist die erste in der Europäischen Union zugelassene pharmakologische Behandlung der cALD. Im Kindesalter kann eine hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSCT) das Fortschreiten der Erkrankung aufhalten. Allerdings handelt es sich dabei um ein invasives Verfahren, das nur für einen Teil der Patienten infrage kommt. Genbasierte HSCT-Verfahren sind weltweit nicht flächendeckend verfügbar und erfordern eine myeloablative Chemotherapie, die mit erheblichen Begleiterkrankungen verbunden sein kann. Bei erwachsenen Patienten sind die Erfahrungen mit HSCT sehr begrenzt, und dieser Eingriff wird häufig nicht empfohlen.

Darüber hinaus entwickeln alle X-ALD-Patienten, die das Erwachsenenalter erreichen, eine Adrenomyeloneuropathie (AMN). Diese Form der Erkrankung schreitet chronisch fort, und Patienten mit cALD und fortgeschrittener AMN kommen aufgrund der ungünstigen Prognose dieser Behandlung in der Regel nicht für eine hämatopoetische 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 konzentriert. Das führende Entwicklungsprogramm des Unternehmens ist Leriglitazon, ein neuartiger, die Blut-Hirn-Schranke passierender und selektiver PPAR-Gamma-Agonist, der in der Europäischen Union zur Behandlung der zerebralen Adrenoleukodystrophie (cALD) bei männlichen Patienten im Alter von 2 bis 12 Jahren mit Gadolinium (Gd)-negativen Hirnläsionen zugelassen wurde. Darüber hinaus wird Leriglitazon zur Behandlung weiterer seltener ZNS-Erkrankungen, darunter das Rett-Syndrom, entwickelt. 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 und verfügt über Standorte in Belgien. Das Unternehmen hat bislang mehr als 150 Millionen Euro an Finanzmitteln eingeworben.

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

Über Neuraxpharm Group

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

Neuraxpharm entwickelt kontinuierlich neue Produkte und Lösungen, um bislang ungedeckte Patientenbedürfnisse zu adressieren und erweitert sein Portfolio fortlaufend durch die eigene Entwicklungspipeline, Partnerschaften und Akquisitionen, einschließlich des Bereichs seltener Erkrankungen.

Das Unternehmen beschäftigt mehr als 1.000 Mitarbeitende und entwickelt und vertreibt ZNS-Produkte über eine direkte Präsenz in mehr als 20 europäischen Ländern, zwei Ländern in Lateinamerika, einem Land im Nahen Osten sowie in Australien. Darüber hinaus ist Neuraxpharm über Partner in mehr als 50 Ländern weltweit vertreten. 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 <https://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.

Referenzen

¹NEXUS, 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>

³TREE, 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>

⁴ADVANCE, eine zulassungsrelevante klinische Phase-2/3-Studie, die randomisiert, doppelblind und placebokontrolliert durchgeführt wurde und eine Open-Label-Verlängerungsphase umfasste. Sie wurde konzipiert, um die Wirksamkeit und Sicherheit von Leriglitazon bei männlichen Patienten mit AMN mit oder ohne cALD zu untersuchen.
[https://www.thelancet.com/journals/laneur/article/PIIS1474-4422\(22\)00495-1/abstract](https://www.thelancet.com/journals/laneur/article/PIIS1474-4422(22)00495-1/abstract)