
COMMUNIQUÉ DE PRESSE

La Commission européenne accorde l'autorisation de mise sur le marché de NEZGLYAL® (leriglitzone), le premier traitement pharmacologique approuvé pour l'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD), une maladie neurodégénérative rare

L'approbation repose sur les données de l'étude NEXUS et fait suite à l'avis positif du CHMP émis en juillet ; le premier lancement en Europe est attendu d'ici la fin de l'année 2026

Barcelone, Espagne et Düsseldorf, Allemagne – 25 septembre, 2026 – Le [Groupe Neuraxpharm](#) et [Minorix Therapeutics](#), annoncent aujourd'hui que la Commission européenne (CE) a accordé une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles à NEZGLYAL® (leriglitzone), un agoniste sélectif du PPAR gamma biodisponible par voie orale, capable de traverser la barrière hémato-encéphalique, pour le traitement des patients de sexe masculin atteints d'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD), âgés de 2 à 12 ans, présentant des lésions cérébrales négatives au gadolinium (Gd).

Ce traitement pharmacologique est le premier approuvé pour la cALD dans l'Union européenne (UE). Cette autorisation repose sur les résultats de l'étude de Phase 2/3 NEXUS¹ ainsi que sur des données complémentaires issues de la pratique clinique réelle recueillies dans le cadre de programmes d'usage compassionnel.

Le premier lancement européen est attendu en Allemagne d'ici la fin de l'année. D'autres lancements en Europe sont prévus à l'issue des négociations nationales relatives au remboursement. Neuraxpharm évalue également les voies d'accès les plus appropriées afin de permettre aux patients éligibles de bénéficier du traitement.

« Dans l'ALD cérébrale de l'enfant (cALD), la neurodégénérescence est irréversible. Il est donc essentiel d'interrompre la progression de la maladie le plus précocement possible, idéalement avant l'apparition des symptômes et des signes de neuro-inflammation. Jusqu'à présent, il n'existait aucun traitement pharmacologique permettant une intervention précoce. Des procédures invasives (greffe de cellules souches hématopoïétique) sont disponibles pour les patients à un stade plus avancé ; elles dépendent toutefois de la disponibilité d'un donneur et ne peuvent être réalisées que dans une fenêtre thérapeutique très étroite », a déclaré le Dr Caroline Sevin, MD, PhD, CRMR LeukoFrance, Hôpital du Kremlin Bicêtre, France. « Le fait de disposer désormais d'un traitement pharmacologique permettant une intervention précoce, constitue une avancée majeure dans la prise en charge de l'ALD cérébrale. »

« La cALD est une maladie neurodégénérative à progression rapide qui affecte gravement la vie des patients et de leurs familles, soulignant le besoin crucial de traitements capables de stopper ou de ralentir la progression de la maladie et d'améliorer la qualité de vie, » a déclaré Dr. Jörg

Thomas Dierks, CEO du Groupe Neuraxpharm. *“L’annonce d’aujourd’hui renforce l’engagement de Neuraxpharm à faire progresser le développement de médicaments innovants destinés au traitement des maladies du système nerveux central (SNC) pour lesquelles les besoins médicaux restent importants et insuffisamment satisfaits. Nous nous réjouissons de collaborer avec les autorités locales ainsi qu’avec les communautés médicales et les associations de patients afin de rendre NEZGLYAL® accessible aux patients éligibles dans toute la région dans les meilleurs délais. »*

« Cette autorisation représente une avancée majeure pour la communauté des personnes atteintes de cALD et reconnaît des années de recherche de pointe ainsi que de collaboration entre les cliniciens et les associations de patients. Nous leur sommes profondément reconnaissants pour leur soutien constant, » a déclaré Marc Martinell, CEO de Minoryx. *“Nos efforts de développement se poursuivent alors que nous générons de nouvelles données afin d’élargir les indications thérapeutiques dans la X-ALD ainsi que dans d’autres maladies rares. »*

L’adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD) est une maladie neurodégénérative rare et invalidante, caractérisée par des lésions démyélinisantes du cerveau pouvant évoluer rapidement et entraîner une détérioration neurologique aiguë pouvant conduire au décès dans un délai de trois à quatre ans. Elle affecte principalement le cerveau et constitue une forme agressive de l’adrénoleucodystrophie liée à l’X (X-ALD), dont l’incidence est estimée à environ 6 à 8 cas pour 100 000 naissances vivantes.

NEZGLYAL® (leriglitzone) est un médicament administré par voie orale une fois par jour, il constitue une option thérapeutique non invasive, capable de modifier l’évolution de la maladie, pour les enfants atteints de cALD présentant des lésions cérébrales négatives au gadolinium (Gd).

L’autorisation de la Commission européenne est valable dans l’ensemble des 27 États membres de l’Union européenne (UE), ainsi qu’en Norvège, en Islande et au Liechtenstein.

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, avec l’achèvement du recrutement des patients dans l’étude de Phase 3 CALYX² menée chez des patients adultes de sexe masculin atteints de cALD présentant des lésions rehaussées au gadolinium (Gd), ainsi qu’avec la poursuite de l’étude de phase 2a TREE³ chez des patients pédiatriques atteints du syndrome de Rett. Les résultats sont attendus respectivement au début de l’année 2028 et d’ici 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

IB Communications

minorix@ibcomms.agency

À propos de l'autorisation de la Commission européenne (CE)

Le 21 septembre 2026, la Commission européenne (CE) a accordé l'autorisation de mise sur le marché de NEZGLYAL® (Ieriglitzone). Le 23 juillet 2026, le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) avait rendu un avis positif recommandant l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles pour NEZGLYAL®, indiqué dans le traitement de l'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD) chez les patients de sexe masculin atteints d'adrénoleucodystrophie (ALD), âgés de 2 à 12 ans, présentant des lésions cérébrales non rehaussées au gadolinium (Gd) (c'est-à-dire Gd négatives) à l'imagerie par résonance magnétique (IRM) cérébrale et ayant un score fonctionnel neurologique (Neurological Functional Score, NFS) de 0 ou 1.

Pour plus d'informations, veuillez consulter le site [Nezglyal | European Medicines Agency \(EMA\)](#)

À propos de NEZGLYAL® (Ieriglitzone)

Le Ieriglitzone est un agoniste sélectif du PPAR gamma, biodisponible par voie orale et capable de traverser la barrière hémato-encéphalique. Développé par Minoryx, il est approuvé comme premier traitement pharmacologique de la cALD dans l'Union européenne pour les patients masculins atteints de cALD, âgés de 2 à 12 ans, présentant des lésions cérébrales négatives au gadolinium (Gd) à l'imagerie par résonance magnétique (IRM) cérébrale et ayant un score fonctionnel neurologique (Neurological Functional Score, NFS) de 0 ou 1. Dans les essais cliniques, le Ieriglitzone a démontré un bénéfice clinique à la fois chez les patients pédiatriques atteints de cALD dans l'étude clinique NEXUS¹ et chez les patients adultes atteints de cALD dans l'étude ADVANCE⁴. Les résultats de l'étude NEXUS montrent que les patients pédiatriques atteints de cALD restent 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 issues de l'étude ADVANCE⁴ ont montré que le Ieriglitzone réduisait la progression de la cALD. À ce jour, plus de 170 patients atteints de cALD ont été traités par Ieriglitzone. Le Ieriglitzone a obtenu la désignation de médicament orphelin pour l'X-ALD de la part de la Food and Drug Administration (FDA) et de l'Agence européenne des médicaments (EMA). Il a également bénéficié des désignations Fast Track et Rare Pediatric Disease accordées par la FDA pour le traitement de l'X-ALD. En Europe, les droits de commercialisation du Ieriglitzone sont concédés sous licence exclusive à Neuraxpharm. Les recommandations détaillées relatives à l'utilisation de NEZGLYAL® figurent dans le Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP), disponible sur le site internet de l'EMA dans toutes les langues officielles de l'Union européenne.

À 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 vivantes. Les garçons et les hommes adultes atteints d'X-ALD peuvent développer, à tout moment de leur vie, une adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD), caractérisée par des lésions cérébrales démyélinisantes susceptibles d'évoluer rapidement, entraînant une détérioration neurologique aiguë et le décès. Ces lésions sont initialement non rehaussées au gadolinium (c'est-à-dire Gd négatives) puis deviennent rehaussées au gadolinium (c'est-à-dire Gd positives) à mesure que la maladie progresse, reflétant 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, à terme, le décès, avec une survie moyenne de trois à quatre ans.

La cALD avec lésions positives au gadolinium (Gd) survient chez 31 à 35 % des patients atteints d'ALD durant l'enfance, avec un âge d'apparition généralement compris entre 2 et 12 ans. Par ailleurs, jusqu'à 60 % des patients adultes atteints d'X-ALD développeront au fil du temps une cALD avec des lésions positives au gadolinium. Le leriglitzone est le premier traitement pharmacologique approuvé dans l'Union européenne pour la cALD. Chez l'enfant, la transplantation de cellules souches hématopoïétiques (HSCT) peut être une option thérapeutique pour stopper la progression de la maladie. Toutefois, il s'agit d'une procédure invasive qui n'est accessible qu'à une partie des patients. Les greffes fondées sur la thérapie génique ne sont pas disponibles à l'échelle mondiale et nécessitent une chimiothérapie myéloablatrice associée à des comorbidités importantes. Chez l'adulte, l'expérience clinique avec la HSCT demeure très limitée et cette intervention n'est souvent pas recommandée.

En outre, tous les patients atteints d'X-ALD qui atteignent l'âge adulte développent une adrénomyéloneuropathie (AMN). Cette forme de la maladie 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.

À propos de Minoryx

Minoryx Therapeutics est une société de biotechnologie en phase d'enregistrement, spécialisée dans le développement de thérapies innovantes pour les maladies rares du système nerveux central (SNC) présentant d'importants besoins médicaux non satisfaits. Son programme phare, le leriglitzone, un nouvel agoniste sélectif du PPAR gamma capable de traverser la barrière hémato-encéphalique, a été approuvé dans l'Union européenne pour le traitement de l'adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD) chez les patients de sexe masculin âgés de 2 à 12 ans présentant des lésions cérébrales négatives au gadolinium (Gd). Le leriglitzone est également en cours de développement pour le traitement d'autres maladies rares du SNC, notamment le syndrome de Rett. L'entreprise est soutenue par un consortium d'investisseurs expérimentés, parmi lesquels 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 a été fondée en 2011. Son siège social est situé en Espagne et l'entreprise dispose également d'installations en Belgique. À ce jour, elle a levé plus de 150 millions d'euros de financements.

Pour plus d'informations, veuillez consulter <https://www.minoryx.com/>

À propos du Groupe Neuraxpharm

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

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

L'entreprise compte plus de 1 000 collaborateurs et développe et commercialise des produits destinés au système nerveux central (SNC) grâce à une présence directe dans plus de 20 pays en Europe, deux en Amérique latine, un au Moyen-Orient et en Australie. Elle est également présente à l'échelle mondiale par l'intermédiaire de partenaires 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 son site de production Neuraxpharm Pharmaceuticals, en Espagne.

Pour plus d'informations, veuillez consulter <https://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, une étude clinique en ouvert conçue pour évaluer l'efficacité et la sécurité du leriglitzone chez des patients pédiatriques de sexe masculin atteints de cALD à un stade précoce.

<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2019-000654-59>

² CALYX, une étude clinique de phase 3, multicentrique, randomisée (1:1), en double aveugle, contrôlée versus placebo, conçue pour évaluer l'efficacité et la sécurité du leriglitzone chez des patients adultes de sexe masculin atteints de cALD présentant des lésions positives au gadolinium (Gd).

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05819866>

³ TREE, une étude clinique de phase 2a, randomisée (1:1), en double aveugle, contrôlée versus placebo, conçue pour évaluer la sécurité (et l'efficacité) du leriglitzone chez des patientes pédiatriques atteintes du syndrome de Rett.

<https://euclinicaltrials.eu/ctis-public/view/2024-514684-26-00?lang=en>

⁴ ADVANCE, une étude clinique pivot de phase 2/3, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo, avec une phase d'extension en ouvert, conçue pour évaluer l'efficacité et la sécurité du leriglitzone chez des patients de sexe masculin atteints d'adrénomyélonéuropathie (AMN), avec ou sans adrénoleucodystrophie cérébrale (cALD).

[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)