
COMUNICATO STAMPA

La Commissione Europea concede l'autorizzazione all'immissione in commercio di NEZGLYAL® (Ieriglitzazione), il primo trattamento farmacologico approvato per l'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD), una rara malattia neurodegenerativa

L'approvazione si basa sui dati dello studio NEXUS e segue il parere positivo del CHMP ricevuto a luglio; il primo lancio in Europa è previsto entro la fine del 2026

Barcellona, Spagna, e Düsseldorf, Germania – 25 settembre 2026 – [Neuraxpharm Group](#) e [Minoryx Therapeutics](#) annunciano oggi che la Commissione Europea (CE) ha concesso l'autorizzazione all'immissione in commercio, in circostanze eccezionali, di NEZGLYAL® (Ieriglitzazione), un agonista selettivo del PPAR gamma, somministrabile per via orale e in grado di attraversare la barriera emato-encefalica, per il trattamento dei pazienti di sesso maschile affetti da adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD) di età compresa tra 2 e 12 anni con lesioni cerebrali negative al gadolinio (Gd).

La terapia è il primo trattamento farmacologico approvato per la cALD nell'Unione Europea (UE). L'approvazione si basa sui risultati dello studio di Fase 2/3 NEXUS¹ e su ulteriori evidenze real-world provenienti da programmi di uso compassionevole.

Il primo lancio europeo è previsto in Germania entro la fine dell'anno, mentre ulteriori lanci in Europa sono attesi una volta concluse le negoziazioni nazionali per il rimborso. Neuraxpharm sta inoltre valutando percorsi di accesso appropriati per i pazienti idonei.

“Nella forma cerebrale dell'adrenoleucodistrofia (cALD) la neurodegenerazione è irreversibile: è quindi fondamentale intervenire precocemente e rallentare la progressione della malattia, idealmente prima della comparsa dei sintomi. Finora non esistevano opzioni farmacologiche per un intervento precoce, ma solo procedure invasive, che però dipendono dalla disponibilità di un donatore e possono essere applicate solo entro una finestra temporale molto ristretta”, ha dichiarato il Prof. Davide Tonduti, Professore Associato di Neuropsichiatria Infantile all'Università degli Studi di Milano e Coordinatore Medico del COALA – Centro per le Leucodistrofie dell'Ospedale dei Bambini "Vittore Buzzi": “Il fatto che sia stato autorizzato un trattamento farmacologico per un intervento precoce rappresenta un importante sviluppo nella gestione della cALD”.

“La cALD è una malattia neurodegenerativa a rapida progressione che ha un impatto devastante sulla vita dei pazienti e delle loro famiglie, evidenziando la necessità critica di trattamenti in grado di arrestare o rallentare la progressione della malattia e di migliorare la qualità della vita,” ha affermato il Dr. Jörg Thomas Dierks, CEO di Neuraxpharm. “L'annuncio di oggi rafforza l'impegno di Neuraxpharm nello sviluppo di farmaci innovativi destinati al trattamento delle malattie del sistema nervoso centrale (SNC) caratterizzate da importanti bisogni clinici ancora non

soddisfatti. Attendiamo con interesse di collaborare con le autorità locali, la comunità medica e le associazioni di pazienti per rendere NEZGLYAL® disponibile il più rapidamente possibile ai pazienti idonei in tutta la regione”.

“Questa approvazione rappresenta una tappa fondamentale per la comunità della cALD e riconosce anni di ricerca innovativa e di collaborazione tra clinici e associazioni di pazienti. Siamo estremamente grati per il loro continuo supporto”, ha commentato Marc Martinell, CEO di Minoryx. “I nostri sforzi di sviluppo continuano mentre generiamo ulteriori dati per ampliare le indicazioni terapeutiche nell’ambito dell’X-ALD e di altre malattie rare.”

L’adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD) è una malattia neurodegenerativa debilitante, caratterizzata da lesioni demielinizzanti a livello cerebrale che possono progredire rapidamente, causando un grave deterioramento neurologico e portando al decesso nel giro di tre o quattro anni. Colpisce principalmente il cervello ed è una forma aggressiva di adrenoleucodistrofia legata al cromosoma X (X-ALD), una malattia con un’incidenza di circa 6-8 casi ogni 100.000 nati vivi.

NEZGLYAL® (leriglitzazione) è un farmaco con somministrazione per via orale da assumere quotidianamente e rappresenta un’opzione terapeutica non invasiva e in grado di modificare il decorso della malattia per i bambini con cALD e lesioni cerebrali negative al gadolinio (Gd).

L’approvazione della Commissione Europea è valida in tutti i 27 Stati membri dell’Unione Europea (UE), nonché in Norvegia, Islanda e Liechtenstein.

Minoryx e Neuraxpharm hanno stipulato un accordo di licenza in base al quale Neuraxpharm commercializzerà il prodotto in Europa a seguito dell’ottenimento dell’autorizzazione all’immissione in commercio.

Il programma di sviluppo continua, con il completamento dell’arruolamento dei pazienti nello studio di Fase 3 CALYX² nei soggetti adulti di sesso maschile affetti da cALD con lesioni captanti il gadolinio (Gd), e con il proseguimento dello studio di Fase 2a TREE³ nei pazienti pediatrici affetti da sindrome di Rett. I risultati sono attesi rispettivamente all’inizio del 2028 ed entro la fine del 2026.

Per ulteriori informazioni, si prega di contattare:

Value Relations

Francesca Alibrandi

Tel: 335 8368826

f.alibrandi@vrelations.it

IB Communications

minorix@ibcomms.agency

Informazioni sull'autorizzazione della Commissione Europea (CE)

Il 21 settembre 2026 la Commissione Europea (CE) ha concesso l'autorizzazione all'immissione in commercio di NEZGLYAL® (Ierigitazone). Il 23 luglio 2026, il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) aveva espresso un [parere positivo](#) raccomandando il rilascio di un'autorizzazione all'immissione in commercio in circostanze eccezionali per NEZGLYAL®, indicato per il trattamento dell'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD) nei pazienti di sesso maschile affetti da adrenoleucodistrofia (ALD), di età compresa tra 2 e 12 anni, con lesioni cerebrali non captanti il gadolinio (Gd) (ossia Gd-negative) alla risonanza magnetica (RM) cerebrale e con un Neurological Functional Score (NFS) pari a 0 o 1.

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

Informazioni su NEZGLYAL® (Ierigitazone)

Il Ierigitazone è un agonista selettivo del PPAR gamma, somministrabile per via orale e in grado di attraversare la barriera emato-encefalica, sviluppato da Minorityx e approvato come primo trattamento farmacologico per la cALD nell'Unione Europea per i pazienti di sesso maschile affetti da cALD, di età compresa tra 2 e 12 anni, con lesioni cerebrali negative al gadolinio (Gd) alla risonanza magnetica (RM) cerebrale e con un Neurological Functional Score (NFS) pari a 0 o 1. Negli studi clinici, ha dimostrato un beneficio clinico sia nei pazienti pediatrici con cALD nello studio clinico NEXUS¹ sia nei pazienti adulti con cALD nello studio ADVANCE⁴. I risultati dello studio NEXUS hanno mostrato che i pazienti pediatrici con cALD rimangono clinicamente e radiologicamente stabili dopo oltre 96 settimane di trattamento o fino alla visita precedente al trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT). I dati dello studio ADVANCE hanno evidenziato che il Ierigitazone ha ridotto la progressione della cALD. Ad oggi, oltre 170 pazienti con cALD hanno ricevuto il trattamento. Il Ierigitazone ha ottenuto la designazione di farmaco orfano per l'X-ALD sia dalla Food and Drug Administration (FDA) statunitense sia dall'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA), oltre alle designazioni Fast Track e Rare Pediatric Disease da parte della FDA per il trattamento dell'X-ALD. In Europa, il prodotto è concesso in licenza esclusiva a Neuraxpharm. Le raccomandazioni dettagliate per l'uso di NEZGLYAL® sono riportate nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP), disponibile sul sito web dell'EMA in tutte le lingue ufficiali dell'Unione Europea.

Informazioni su X-ALD e cALD

L'adrenoleucodistrofia legata al cromosoma X (X-ALD) è una malattia neurodegenerativa rara. L'incidenza globale dell'X-ALD è di 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 loro vita, l'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD), caratterizzata da lesioni demielinizzanti cerebrali che possono progredire rapidamente, causando un grave deterioramento neurologico e portando alla morte. Tali lesioni inizialmente non captano il gadolinio (ossia sono Gd-negative), ma con la progressione della malattia diventano captanti il gadolinio (ossia Gd-positive), riflettendo un danno della barriera emato-encefalica. La progressione delle lesioni provoca sintomi gravi, quali 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 con lesioni Gd-positive 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% dei pazienti adulti con X-ALD svilupperà nel tempo una cALD con lesioni Gd-positive. Il leriglitazone è il primo trattamento farmacologico approvato nell'Unione Europea per la cALD. Durante l'infanzia, il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) può arrestare la progressione della malattia; tuttavia, si tratta di una procedura invasiva disponibile solo per una parte dei pazienti. Inoltre, il trapianto basato sulla terapia genica non è disponibile a livello globale e richiede una chemioterapia mieloablativa associata a significative comorbidità. Negli adulti, l'esperienza con l'HSCT è molto limitata e questo intervento spesso non è raccomandato.

Inoltre, tutti i pazienti con 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 avanzata sono generalmente considerati non idonei all'HSCT a causa della scarsa prognosi associata al trattamento.

Informazioni su Minoryx

Minoryx Therapeutics è una società biotecnologica in fase di registrazione focalizzata sullo sviluppo di nuove terapie per malattie rare del sistema nervoso centrale (SNC) caratterizzate da elevati bisogni medici non soddisfatti. Il programma di punta dell'azienda, il leriglitazone, un nuovo agonista selettivo del PPAR gamma in grado di attraversare la barriera emato-encefalica, è stato approvato nell'Unione Europea per il trattamento dell'adrenoleucodistrofia cerebrale (cALD) nei pazienti di sesso maschile di età compresa tra 2 e 12 anni con lesioni cerebrali negative al gadolinio (Gd). Il leriglitazone è inoltre in fase di sviluppo per il trattamento di altre malattie rare del SNC, come la sindrome di Rett. L'azienda è sostenuta da un consorzio di investitori esperti, 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 a beneficiare del supporto di una rete di altre organizzazioni.

Minoryx è stata fondata nel 2011, ha sede in Spagna e dispone di strutture operative in Belgio. Ad oggi, l'azienda ha raccolto oltre 150 milioni di euro di finanziamenti.

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

Informazioni sul Gruppo Neuraxpharm

Neuraxpharm è una delle principali aziende farmaceutiche specializzate in Europa, focalizzata sul trattamento dei disturbi del sistema nervoso centrale (SNC), comprese le patologie psichiatriche e neurologiche, con una profonda e distintiva conoscenza del mercato del SNC.

Neuraxpharm innova costantemente sviluppando nuovi prodotti e soluzioni per rispondere a bisogni medici ancora non soddisfatti e continua ad ampliare il proprio portafoglio attraverso la pipeline di sviluppo, partnership strategiche e acquisizioni, anche nell'ambito delle malattie rare.

L'azienda conta oltre 1.000 dipendenti e sviluppa e commercializza prodotti per il sistema nervoso centrale (SNC) attraverso una presenza diretta in oltre 20 Paesi europei, due in America Latina, uno in Medio Oriente e in Australia, nonché a livello globale tramite partner presenti in più di 50 Paesi. Neuraxpharm è sostenuta da fondi gestiti da Permira.

Neuraxpharm produce molti dei suoi prodotti farmaceutici presso lo stabilimento Neuraxpharm Pharmaceuticals in Spagna.

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

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.

Riferimenti

¹ NEXUS, uno studio clinico di Fase 2/3, in aperto (open-label), progettato per valutare l'efficacia e la sicurezza di leriglitzazione 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 valutare l'efficacia e la sicurezza di leriglitzazione in pazienti adulti di sesso maschile affetti da cALD con lesioni captanti il gadolinio (Gd-positive).
<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 leriglitzazione nelle pazienti pediatriche affette dalla sindrome di Rett.
<https://euclinicaltrials.eu/ctis-public/view/2024-514684-26-00?lang=en>

⁴ ADVANCE, uno studio clinico cardine di fase 2/3, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo e con un'estensione in aperto, progettato per valutare l'efficacia e la sicurezza del leriglitzazione nei pazienti di sesso maschile affetti da AMN con o senza 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)