
COMUNICADO DE PRENSA

La Comisión Europea concede la autorización de comercialización de leriglitzona, el primer tratamiento farmacológico aprobado para la adrenoleucodistrofia cerebral (cALD), una enfermedad neurodegenerativa rara

La aprobación se basa en los datos del estudio NEXUS y sigue al dictamen positivo del CHMP emitido en julio; el primer lanzamiento en Europa está previsto para finales de 2026

Barcelona, España, y Düsseldorf, Alemania – 28 Septiembre, 2026 – [Neuraxpharm Group](#) y [Minorityx Therapeutics](#), anuncian hoy que la Comisión Europea (CE) ha concedido la autorización de comercialización en circunstancias excepcionales para NEZGLYAL® (leriglitzona), un agonista selectivo de PPAR gamma administrado por vía oral y capaz de atravesar la barrera hematoencefálica, para el tratamiento de pacientes varones con adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) de entre 2 y 12 años de edad con lesiones cerebrales sin captación de gadolinio (Gd negativas).

La terapia es el primer tratamiento farmacológico aprobado para la cALD en la Unión Europea (UE). Esta aprobación se basa en los resultados del estudio de fase 2/3 NEXUS¹ y en evidencia adicional procedente de la práctica clínica real obtenida a través de programas de uso compasivo.

Se espera que el primer lanzamiento europeo tenga lugar en Alemania antes de finales de año, mientras que se prevén lanzamientos adicionales en otros países europeos una vez concluyan los correspondientes procesos nacionales de reembolso.

“Con la cALD infantil, la neurodegeneración es irreversible, por lo que es importante detener la progresión de la enfermedad de forma temprana, idealmente antes de que aparezcan los síntomas. Hasta ahora, no existían opciones de tratamiento farmacológico para una intervención precoz, sino únicamente procedimientos invasivos, como el trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH o HSCT por sus siglas en inglés), para pacientes con una enfermedad más avanzada, dependientes de la disponibilidad de un donante y que solo pueden aplicarse dentro de una ventana terapéutica muy limitada” declaró la **Dra. A. García-Cazorla MD, PhD, Responsable de la Unidad de Enfermedades Neurometabólicas y del Laboratorio de Metabolismo Sináptico del Departamento de Neurología del Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona.**

“La cALD es una enfermedad neurodegenerativa de rápida progresión que afecta gravemente la vida de los pacientes y sus familias, poniendo de manifiesto la necesidad de tratamientos capaces de detener o ralentizar la progresión de la enfermedad y mejorar la calidad de vida,” **declare el Dr. Jörg Thomas Dierks, CEO de Neuraxpharm.** *“El anuncio de hoy refuerza el compromiso de Neuraxpharm con el avance de medicamentos dirigidos a enfermedades del sistema nervioso central (SNC) con importantes necesidades clínicas no cubiertas. Esperamos colaborar con las autoridades locales, la comunidad médica y las asociaciones de pacientes para poner NEZGLYAL® a disposición de los pacientes elegibles en toda la región lo antes posible.”*

“Esta aprobación representa un hito importante para la comunidad de la cALD y reconoce años de investigación y de colaboración entre profesionales clínicos y organizaciones de pacientes. Estamos profundamente agradecidos por su apoyo continuo,” declaró Marc Martinell, CEO de Minoryx. “Nuestros esfuerzos de desarrollo continúan mientras seguimos generando nuevos datos con el objetivo de ampliar las indicaciones autorizadas en el ámbito de la X-ALD y otras enfermedades raras.”

La adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) es una enfermedad neurodegenerativa debilitante caracterizada por lesiones cerebrales desmielinizantes que pueden progresar rápidamente, provocando un deterioro neurológico agudo y la muerte en un plazo de tres a cuatro años. Afecta predominantemente al cerebro y constituye una forma agresiva de la adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD), cuya incidencia se estima en aproximadamente 6-8 casos por cada 100,000 nacidos vivos.

La autorización de la Comisión Europea es válida en los 27 Estados miembros de la Unión Europea (UE), así como en Noruega, Islandia y Liechtenstein.

Minoryx y Neuraxpharm suscribieron un acuerdo de licencia en virtud del cual Neuraxpharm comercializará el producto en Europa tras la obtención de la autorización de comercialización.

El programa de desarrollo continúa, habiéndose completado ya el reclutamiento de pacientes en el ensayo de fase 3 CALYX² en pacientes hombres adultos con cALD y lesiones con captación de gadolinio (Gd positivas), así como con la continuación del ensayo de fase 2a TREE³ en pacientes pediátricos con síndrome de Rett. Se espera disponer de los resultados a principios de 2028 y a finales de 2026, respectivamente.

Para más información, por favor contacte con:

Gemma Escarré Comms

Tel: +34 667 76 15 24

minoryx@gemmaescarre.com

Sobre la aprobación de la Comisión Europea (CE)

El 21 de Septiembre de 2026, la Comisión Europea (CE) concedió la autorización de comercialización de NEZGLYAL® (leriglitzona). El 23 de julio de 2026, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) emitió un dictamen positivo recomendando la concesión de una autorización de comercialización en circunstancias excepcionales para NEZGLYAL®, indicado para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) en pacientes de sexo masculino con adrenoleucodistrofia (ALD), de entre 2 y 12 años de edad, con lesiones cerebrales no captantes de gadolinio (Gd) (es decir, Gd negativas) en resonancia magnética (RM) cerebral y con una puntuación en la Escala Funcional Neurológica (Neurological Functional Score, NFS) de 0 o 1.

Para obtener más información, visite [Nezglial | European Medicines Agency \(EMA\)](#)

Sobre X-ALD y cALD

La adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) es una enfermedad neurodegenerativa rara. La incidencia global de la X-ALD es de aproximadamente 6 a 8 casos por cada 100,000 nacidos vivos. Los niños y hombres adultos con X-ALD pueden desarrollar, en cualquier momento de su vida, adrenoleucodistrofia cerebral (cALD), caracterizada por lesiones cerebrales desmielinizantes que pueden progresar rápidamente, provocando un deterioro neurológico agudo y la muerte. Estas lesiones son inicialmente no captantes de gadolinio (es decir, Gd negativas) y pasan a captar gadolinio (es decir, Gd positivas) a medida que progresan, lo que refleja un daño en la barrera hematoencefálica. La progresión de las lesiones provoca síntomas graves, como pérdida del movimiento voluntario, incapacidad para tragar, pérdida de la capacidad de comunicación, ceguera cortical, incontinencia total y muerte, con una supervivencia media de entre tres y cuatro años.

La cALD con lesiones con captación de gadolinio (Gd positivas) se presenta en el 31-35 % de los pacientes con ALD durante la infancia, con un inicio típico entre los 2 y los 12 años de edad, y hasta el 60 % de los pacientes adultos con X-ALD desarrollarán con el tiempo cALD con lesiones Gd positivas. La leriglitazona es el primer tratamiento farmacológico aprobado en la Unión Europea para la cALD. Durante la infancia, el trasplante de células madre hematopoyéticas (HSCT) puede detener la progresión de la enfermedad; sin embargo, se trata de un procedimiento invasivo que solo está disponible para una parte de los pacientes. El HSCT basado en terapia génica no está disponible a nivel mundial y requiere quimioterapia mieloablativa, asociada a importantes comorbilidades. En adultos, la experiencia con el HSCT es muy limitada y esta intervención a menudo no se recomienda. Además, todos los pacientes con X-ALD que alcanzan la edad adulta desarrollan adrenomieloneuropatía (AMN). Esta forma de la enfermedad presenta una progresión crónica y los pacientes con cALD y AMN avanzada, en su mayoría, no son candidatos al trasplante de células madre hematopoyéticas (HSCT) debido al pronóstico desfavorable asociado a este tratamiento.

Sobre Minoryx

Minoryx Therapeutics es una empresa biotecnológica en fase de registro centrada en el desarrollo de nuevas terapias para enfermedades raras del sistema nervioso central (SNC) con importantes necesidades médicas no cubiertas. Su programa principal, leriglitazona, un novedoso agonista selectivo de PPAR gamma capaz de atravesar la barrera hematoencefálica, ha sido aprobado en la Unión Europea para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) en pacientes varones de entre 2 y 12 años con lesiones cerebrales sin captación de gadolinio (Gd negativas). Asimismo, la leriglitazona se está desarrollando para el tratamiento de otras enfermedades raras del SNC, como el síndrome de Rett. La compañía cuenta con el respaldo de un consorcio de inversores experimentados, entre los que se encuentran 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 y Sambrinvest, y recibe además el apoyo de una red de otras organizaciones.

Minoryx fue fundada en 2011, tiene su sede en España y cuenta con instalaciones en Bélgica. Hasta la fecha, la compañía ha obtenido más de 150 millones de euros en financiación

Para obtener más información, visite <https://www.minoryx.com/>

Sobre el Grupo Neuraxpharm

Neuraxpharm es una compañía farmacéutica europea líder especializada en el tratamiento de los trastornos del sistema nervioso central (SNC), incluyendo tanto patologías psiquiátricas como neurológicas, y cuenta con un conocimiento único del mercado del SNC.

Neuraxpharm innova continuamente desarrollando nuevos productos y soluciones para dar respuesta a necesidades médicas aún no cubiertas de los pacientes, y amplía su cartera mediante su pipeline de desarrollo, alianzas estratégicas y adquisiciones, también en el ámbito de las enfermedades raras.

La compañía cuenta con más de 1.000 empleados y desarrolla y comercializa productos para el sistema nervioso central (SNC) a través de una presencia directa en más de 20 países de Europa, dos en Latinoamérica, uno en Oriente Medio y Australia, así como a nivel mundial mediante socios en más de 50 países. Neuraxpharm cuenta con el respaldo de fondos asesorados por Permira.

Neuraxpharm fabrica muchos de sus productos farmacéuticos en las instalaciones de Neuraxpharm Pharmaceuticals en España.

Para obtener más información, visite <https://www.neuraxpharm.com/>

Declaraciones prospectivas

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas que implican riesgos e incertidumbres que podrían causar que los resultados reales difieran sustancialmente de los previstos.

Referencias

¹NEXUS, un estudio clínico de fase 2/3, abierto, diseñado para evaluar la eficacia y la seguridad de la leriglitzona en pacientes pediátricos varones con cALD en fase temprana.

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

²CALYX, un estudio clínico de fase 3, multicéntrico, aleatorizado (1:1), doble ciego y controlado con placebo, diseñado para evaluar la eficacia y la seguridad de la leriglitzona en pacientes adultos varones con cALD y lesiones con captación de gadolinio (Gd positivas).

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

³TREE, un estudio clínico de fase 2a, aleatorizado (1:1), doble ciego y controlado con placebo, diseñado para evaluar la seguridad (y la eficacia) de la leriglitzona en pacientes pediátricas con síndrome de Rett.

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