

## Leriglitzona muestra resultados positivos en la variable principal de NEXUS, el ensayo clínico en pacientes pediátricos con adrenoleucodistrofia cerebral

**El tratamiento con leriglitzona mostró una diferencia estadísticamente significativa en el freno de la enfermedad en comparación con su curso natural**

**Se prevé presentar la solicitud de autorización de comercialización europea para leriglitzona a mediados de 2025**

**Barcelona (España) y Düsseldorf (Alemania) – 11 de diciembre del 2024** – Minoryx Therapeutics, una empresa biotecnológica en etapa avanzada especializada en el desarrollo de terapias para enfermedades huérfanas del sistema nervioso central (SNC), y el Grupo Neuraxpharm (Neuraxpharm), una empresa farmacéutica europea líder en el tratamiento de trastornos del SNC, anuncian que se ha completado el ensayo clínico de fase 2/3 NEXUS y que se han obtenido resultados positivos en la variable principal. La previsión es presentar la solicitud de autorización de comercialización europea para leriglitzona para pacientes pediátricos y adultos con adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) a mediados del 2025.

NEXUS es un estudio abierto, pivotal, de 96 semanas, diseñado para evaluar la eficacia y seguridad de una dosis oral diaria de leriglitzona en pacientes pediátricos con cALD. La variable principal consistió en evaluar la proporción de pacientes con detención clínica y radiológica de la enfermedad a las 96 semanas o en la visita previa al trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH). La población evaluable del estudio estuvo compuesta por 20 pacientes tratados durante un mínimo de 24 semanas. Todos los pacientes permanecieron clínicamente estables durante el tratamiento, y 7 de los 20 pacientes (35%) cumplieron con los criterios de detención de la enfermedad, un porcentaje significativamente mayor al 10% esperado según el curso natural de la enfermedad ( $p < 0,05$ ).

La leriglitzona fue bien tolerada por todos los niños, sin que se produjeran eventos adversos graves relacionados con el tratamiento ni interrupciones a causa de eventos adversos.

Los resultados completos del ensayo NEXUS se presentarán en próximos congresos internacionales de neurología.

*“La adrenoleucodistrofia cerebral en niños es una enfermedad devastadora, tanto para los pacientes como para sus familias. Las opciones de tratamiento son limitadas, y tanto los médicos como las familias buscan constantemente herramientas y terapias para tratar la cALD en niños” comenta Patricia Musolino, investigadora principal global de NEXUS. “Los resultados de NEXUS confirman que la leriglitzona aborda una necesidad crítica no cubierta de tratamientos no invasivos que puedan administrarse en el momento en el que se identifican las lesiones cerebrales para detenerlas o ralentizar su crecimiento”.*

*“Estamos muy satisfechos con los resultados positivos de NEXUS, que demuestran que la leriglitzona no solo detiene las lesiones desmielinizantes en el cerebro de niños con cALD, sino también la progresión clínica de la enfermedad” señala Marc Martinell, CEO de Minoryx. “Además, estos resultados están respaldados por los datos de los objetivos relacionados con cALD del ensayo ADVANCE<sup>1</sup> en pacientes adultos y los resultados obtenidos en pacientes tratados en uso compasivo<sup>1</sup>. Junto con nuestro socio, Neuraxpharm, tenemos la intención de presentar la solicitud de autorización de comercialización a la EMA lo antes posible”.*

El **Dr. Jörg-Thomas Dierks, CEO de Neuraxpharm**, comenta que *“la cALD es un trastorno neurológico muy grave con consecuencias devastadoras para los pacientes y sus familias. Los resultados de este ensayo son sumamente alentadores y estamos totalmente comprometidos a trabajar con Minoryx para proporcionar rápidamente a los pacientes un nuevo tratamiento eficaz”*.

Sobre la base de los exitosos resultados de NEXUS, Minoryx y Neuraxpharm han empezado a elaborar el expediente regulatorio para presentar la solicitud de autorización de comercialización en la Unión Europea.

### **Acerca de la leriglitzona**

La leriglitzona es un nuevo agonista selectivo de PPAR gamma de Minoryx Therapeutics, el cual es biodisponible por vía oral y tiene un perfil potencial de *first-in-class* y *best-in-class* para enfermedades del SNC. Ha demostrado penetración cerebral y un perfil de seguridad favorable. También ha mostrado resultados sólidos en pruebas de concepto preclínica en modelos animales de múltiples enfermedades al modular las vías relacionadas con la neuroinflamación, la desmielinización, la disfunción mitocondrial, el estrés oxidativo y la degeneración axonal. En ensayos clínicos, la leriglitzona ha mostrado beneficios clínicos tanto en pacientes pediátricos con X-ALD en NEXUS como en pacientes adultos con X-ALD en el ensayo ADVANCE. Los resultados del ensayo NEXUS demuestran que los pacientes pediátricos con cALD permanecen estables clínicamente y radiológicamente tras 96 semanas de tratamiento o en la visita previa al trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH). Los datos obtenidos en el ensayo ADVANCE mostraron que la leriglitzona reduce la progresión de las lesiones y previene el desarrollo de cALD progresiva en pacientes adultos. Actualmente, otro ensayo clínico (CALYX<sup>2</sup>) en pacientes adultos varones con cALD progresiva está reclutando en Estados Unidos, Argentina, Brasil y Europa. La leriglitzona ha sido reconocida como medicamento huérfano para la X-ALD por la Administración de Alimentos y Medicamentos norteamericana (FDA) y la Agencia Europea del Medicamento (EMA), y ha recibido las designaciones de *Fast Track* y de enfermedad pediátrica rara de la FDA para el tratamiento de la X-ALD.

### **Acerca de NEXUS**

NEXUS es un estudio abierto, multicéntrico y pivotal de 96 semanas (NEXUS; NCT04528706) diseñado para evaluar la administración oral diaria de leriglitzona en pacientes pediátricos con cALD. NEXUS ha reclutado a 23 pacientes y la población evaluable consiste en los pacientes tratados un mínimo de 24 semanas (20 pacientes). La variable principal consistió en evaluar la proporción de pacientes evaluables con detención clínica y radiológica de la enfermedad a las 96 semanas o en la visita previa al TCMH (criterio de éxito: IC unilateral del 95% >10 %). Entre los objetivos secundarios, se incluyeron los cambios desde la línea basal en las puntuaciones NFS y Loes (LS). Los objetivos exploratorios abarcan cambios desde la línea basal en el volumen de las lesiones y las concentraciones de biomarcadores plasmáticos.

### **Acerca de la X-ALD y la cALD**

La adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) es una enfermedad neurodegenerativa huérfana. Su incidencia global es de aproximadamente 6-8 casos por cada 100.000 nacimientos. Los niños y hombres adultos con X-ALD pueden desarrollar en cualquier momento de su vida cALD, una condición caracterizada por lesiones desmielinizantes en el cerebro que pueden progresar rápidamente, causando un deterioro neurológico agudo y la muerte. Estas lesiones pueden generar síntomas graves como pérdida de movimientos voluntarios, incapacidad para deglutir, pérdida de comunicación, ceguera cortical, incontinencia total y, finalmente, la muerte, con una supervivencia media de 3 a 4 años.

La cALD progresiva ocurre en el 31-35% de los pacientes pediátricos con X-ALD, con un inicio típico entre los 2 y 12 años, y hasta un 60% de los pacientes adultos con X-ALD desarrollará cALD progresiva con el tiempo. Actualmente, no existe ningún tratamiento farmacológico para tratar la cALD. En edades tempranas, el trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) puede detener la progresión de la enfermedad. Sin embargo, es un procedimiento agresivo y solo está disponible para una parte de los pacientes. El TCMH basado en terapia génica no está disponible globalmente y requiere quimioterapia mieloablativa con comorbilidades asociadas. En adultos, la experiencia en TCMH es muy limitada y la intervención no suele recomendarse.

Además, todos los pacientes con X-ALD que alcanzan la edad adulta desarrollan adrenomieloneuropatía (AMN). La enfermedad progresa de manera crónica, y los pacientes con cALD avanzada y AMN, debido al mal pronóstico del tratamiento, a menudo no son candidatos para el TCMH.

### **Acerca de Minoryx**

Minoryx es una empresa biotecnológica en fase de registro centrada en el desarrollo de terapias innovadoras para enfermedades huérfanas del sistema nervioso central (SNC) con grandes necesidades médicas no cubiertas. El programa principal de la empresa, la leriglitazona (MIN-102), un nuevo agonista selectivo de PPAR gamma que penetra en el cerebro, se está desarrollando para tratar la adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) y otras enfermedades huérfanas del SNC. Minoryx cuenta con el respaldo de un sindicato de inversores experimentados, que incluye a Columbus Venture Partners, CDTI Invierte, Criteria BioVentures, Fund+, Ysios Capital, Roche Venture Fund, Kurma Partners, Chiesi Ventures, S.R.I.W., Idinvest Partners / Eurazeo, SFPI-FPIM, HealthEquity, Sambrinvest y Herrecha, y cuenta con el apoyo de una red de otras organizaciones.

Minoryx se fundó en 2011, tiene su sede en España y cuenta con instalaciones en Bélgica. Hasta la fecha ha recaudado más de 120 millones de euros.

Para más información, visita [www.minoryx.com](http://www.minoryx.com)

### **Acerca del Grupo Neuraxpharm**

Neuraxpharm es una empresa farmacéutica líder en Europa especializada en el tratamiento de trastornos del sistema nervioso central (SNC), incluidos los trastornos psiquiátricos y neurológicos. Con más de 35 años de experiencia, la empresa cuenta con un profundo conocimiento del mercado del SNC. Neuraxpharm está en constante innovación, desarrollando nuevos productos y soluciones para cubrir necesidades no cubiertas de los pacientes, y expandiendo su cartera mediante productos propios, colaboraciones y adquisiciones.

La empresa cuenta con más de 1 000 empleados y desarrolla y comercializa productos para el SNC con presencia directa en más de 20 países europeos, dos en América Latina, uno en Oriente Medio y, a nivel mundial, a través de socios en más de 50 países. Neuraxpharm cuenta con el respaldo de fondos asesorados por Permira.

Neuraxpharm fabrica una parte importante de sus productos farmacéuticos en Neuraxpharm Pharmaceuticals (anteriormente Laboratorios Lesvi) en España.

Para más información, visita [www.neuraxpharm.com](http://www.neuraxpharm.com)

<sup>1</sup> ADVANCE, un ensayo clínico pivotal de Fase 2/3, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y abierto, diseñado para evaluar la eficacia y seguridad de leriglitazona en pacientes varones con X-ALD.

<sup>2</sup> CALYX, un ensayo clínico de Fase 3, multicéntrico, aleatorizado (1:1), doble ciego y controlado con placebo, diseñado para comparar la eficacia y seguridad de leriglitazona en pacientes varones adultos con cALD progresiva (<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05819866>).

### **Contacto para los medios (España):**

Minoryx Therapeutics

Gemma Escarré Comms

Tel. 667 76 15 24

[minoryx@gemmaescarre.com](mailto:minoryx@gemmaescarre.com)

Neuraxpharm

Optimum Strategic Communications

Nick Bastin / Charlotte Hepburne-Scott / Elena Bates

Tel. +44 (0)203 882 9621

[neuraxpharm@optimumcomms.com](mailto:neuraxpharm@optimumcomms.com)