

NOTA DE PRENSA

NEZGLYAL® (Ieriglitzona) recibe la opinión positiva del CHMP para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral (cALD), una enfermedad neurodegenerativa rara

Recomendación basada en datos de NEXUS. Minoryx y Neuraxpharm esperan la aprobación de la Comisión Europea a finales de este trimestre.

Barcelona y Düsseldorf (Alemania), 24 de julio de 2026 – Minoryx Therapeutics y Neuraxpharm Group anuncian que el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) ha recomendado la autorización de comercialización, en circunstancias excepcionales, de NEZGLYAL® (Ieriglitzona) como tratamiento para pacientes varones con adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) de 2 a 12 años de edad con lesiones cerebrales sin captación de gadolinio. Se prevé la aprobación de la Comisión Europea a finales de septiembre de 2026.

Esta opinión 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. La adrenoleucodistrofia cerebral es una enfermedad 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. Actualmente no existen tratamientos farmacológicos aprobados para la cALD en la Unión Europea.

*“La opinión favorable del CHMP supone la validación regulatoria, y nos complace enormemente poder ofrecer pronto una nueva opción terapéutica a los niños que padecen cALD. Quiero agradecer a los médicos, pacientes y sus familias, y a toda la comunidad de ALD, el enorme apoyo recibido a lo largo de estos años”, comenta **Marc Martinell, CEO de Minoryx.** “Seguiremos trabajando para la aprobación en Estados Unidos y la futura ampliación de la indicación en Europa, a medida que generamos nuevos datos en pacientes varones adultos con cALD con lesiones con captación de gadolinio, procedentes del ensayo CALYX², actualmente en curso”.*

*“La cALD es una enfermedad neurodegenerativa grave y esperamos poder ofrecer NEZGLYAL®, este tratamiento tan esperado, a los pacientes europeos tras la aprobación de la CE a finales de este año. Esto refleja el compromiso constante de Neuraxpharm de dar soluciones innovadoras a pacientes con enfermedades del SNC con importantes necesidades médicas no cubiertas. La colaboración entre Neuraxpharm y socios estratégicos como Minoryx a lo largo del proceso clínico y regulatorio, puede tener un impacto real en la comunidad de pacientes con enfermedades del SNC. Seguimos comprometidos con el apoyo a Minoryx para obtener la ampliación de la indicación europea en el futuro”, explica el **Dr. Jörg Thomas Dierks, CEO de Neuraxpharm.***

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

El programa de desarrollo continúa avanzando con el ensayo CALYX de Fase 3 en curso en pacientes varones adultos con cALD con lesiones con captación de gadolinio, y el ensayo TREE³ de Fase 2a en pacientes pediátricos con síndrome de Rett, cuyos resultados se esperan para principios de 2028 y finales de 2026, respectivamente.

Para más información, contactar con:

Gemma Escarré Comms
Tel: +34 667 76 15 24
minoryx@gemmaescarre.com

Sobre la opinión del CHMP

El 23 de julio de 2026, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) adoptó una opinión positiva en la que recomendó la concesión de una autorización de comercialización en circunstancias excepcionales para NEZGLYAL®, destinado al tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) en varones de entre 2 y 12 años con adrenoleucodistrofia (ALD) que presenten lesiones sin captación de gadolinio (Gd), es decir, Gd negativas, en la resonancia magnética cerebral (RM), con una puntuación en la escala de función neurológica (NFS) de 0 o 1.

Se prevé que la Comisión Europea conceda la autorización de comercialización a finales de septiembre de 2026.

Para más información, visitar [Nezgllyal | European Medicines Agency \(EMA\)](#)

Sobre leriglitzona (NEZGLYAL®)

Es un agonista selectivo de PPAR-gamma, biodisponible por vía oral y con capacidad de penetración cerebral, desarrollado por Minoryx Therapeutics para el tratamiento de enfermedades del SNC. Ha demostrado su eficacia preclínica en modelos animales de diversas enfermedades al modular vías que conducen a la neuroinflamación, desmielinización, disfunción mitocondrial, estrés oxidativo y degeneración axonal. En ensayos clínicos, ha mostrado beneficios clínicos tanto en pacientes pediátricos con cALD (NEXUS) como en pacientes adultos con cALD (ADVANCE). Los resultados de NEXUS demuestran que los pacientes pediátricos con cALD se mantienen clínica y radiológicamente estables tras más de 96 semanas de tratamiento o en la visita previa al trasplante de células madre hematopoyéticas. Los datos de ADVANCE mostraron que la leriglitzona reduce la progresión de la cALD. Hasta la fecha, más de 170 pacientes con cALD han recibido tratamiento. La leriglitzona ha recibido la designación de medicamento huérfano para la adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) por parte de la FDA y la EMA, así como la designación de vía rápida (*Fast Track*) y de enfermedad pediátrica rara por parte de la FDA para el tratamiento de la X-ALD. En Europa, su licencia exclusiva pertenece a Neuraxpharm.

La leriglitzona ha recibido una opinión positiva del CHMP en la Unión Europea, bajo circunstancias excepcionales, para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) en varones con adrenoleucodistrofia (ALD) de 2 a 12 años con lesiones sin captación de gadolinio (Gd), es decir, Gd negativas, en la resonancia magnética cerebral (RM), con una puntuación en la escala de función neurológica (NFS) de 0 o 1.

Sobre X-ALD y cALD

La adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) es una enfermedad neurodegenerativa rara. La incidencia mundial de X-ALD es de aproximadamente 6-8 casos por cada 100.000 nacimientos. Los niños y los hombres adultos con X-ALD pueden desarrollar, en cualquier momento de su vida, adrenoleucodistrofia cerebral (cALD), que se caracteriza por lesiones cerebrales desmielinizantes que pueden volverse rápidamente progresivas, provocando un deterioro neurológico agudo y la muerte. Inicialmente, estas lesiones no captan contraste con gadolinio (es decir, son Gd-negativas) y, a medida que progresan, lo captan (es decir, son Gd-positivas), lo que refleja un daño en la barrera hematoencefálica. La progresión de las lesiones causa síntomas graves como pérdida del movimiento voluntario, incapacidad de deglución, pérdida de la capacidad comunicativa, ceguera cortical, incontinencia total y muerte, con una supervivencia media de tres a cuatro años.

La cALD se presenta en el 31-35% de los pacientes con ALD en la infancia, con un inicio típico entre los 2 y 12 años. Hasta el 60% de los pacientes adultos con X-ALD desarrollarán cALD progresiva con el tiempo. Actualmente, no existe un tratamiento farmacológico disponible para la cALD. En la infancia, el trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) puede detener la enfermedad. Sin embargo, es un procedimiento invasivo y solo está disponible para una parte de los pacientes. El TCMH basado en terapia génica no está disponible a nivel mundial y requiere quimioterapia mieloablativa con comorbilidades asociadas. En adultos, la experiencia con el TCMH es muy limitada y es una intervención poco recomendada.

Además, todos los pacientes con X-ALD que llegan a la edad adulta desarrollan adrenomieloneuropatía (AMN). Esta forma progresa crónicamente, y los pacientes con cALD y AMN avanzada no suelen ser candidatos para el TCMH debido al mal pronóstico del tratamiento.

Sobre Minoryx

Minoryx Therapeutics es una empresa biotecnológica en fase de registro, centrada en el desarrollo de terapias innovadoras para enfermedades raras del sistema nervioso central (SNC) con importantes necesidades médicas no cubiertas. Su principal programa, leriglitzona, es un nuevo agonista selectivo del receptor PPAR-gamma con capacidad de penetración en el cerebro y se está desarrollando para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X (X-ALD) y otras enfermedades raras del SNC. La empresa cuenta con el respaldo de un amplio grupo de inversores experimentados, entre los cuales 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 apoyo de una amplia red de otras organizaciones.

Minoryx se fundó en 2011 y tiene su sede en Mataró (Barcelona), además de instalaciones en Bélgica, y ha recaudado más de 150 millones de euros.

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

Sobre Neuraxpharm Group

Neuraxpharm es una farmacéutica europea especializada en el tratamiento del sistema nervioso central (SNC), incluyendo trastornos psiquiátricos y neurológicos, con un conocimiento único del mercado del SNC.

Neuraxpharm innova constantemente con nuevos productos y soluciones para satisfacer las necesidades no cubiertas de los pacientes, y amplía su cartera a través de productos en desarrollo, alianzas y adquisiciones, incluyendo el área de enfermedades raras.

La compañía cuenta con más de 1.000 empleados y desarrolla y comercializa productos para el SNC a través de presencia directa en más de 20 países de Europa, dos en Latinoamérica, uno en Oriente Medio, en Australia y a nivel global mediante socios en más de 50 países. Neuraxpharm cuenta con el respaldo de fondos gestionados por Permira.

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

Para más información, visitar: <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.

¹ NEXUS, un estudio clínico de Fase 2/3, abierto, diseñado para evaluar la eficacia y seguridad de leriglitzona en pacientes pediátricos varones con adrenoleucodistrofia cerebral (cALD) en etapa temprana (<https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2019-000654-59>).

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

³ TREE, un estudio clínico de Fase 2a, aleatorizado (1:1), doble ciego y controlado con placebo, diseñado para evaluar la seguridad (y eficacia) de leriglitzona en pacientes pediátricas femeninas con síndrome de Rett (<https://euclinicaltrials.eu/ctis-public/view/2024-514684-26-00?lang=en>).