



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

14. listopadu 2025
EMA/358840/2025
EMA/H/C/006261

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Nurzigma (pridopidin)

Společnost Prilenia Therapeutics B.V. stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Nurzigma, což je léčivý přípravek určený k léčbě dospělých s Huntingtonovou chorobou.

Společnost svou žádost stáhla dne 7. listopadu 2025.

Co je přípravek Nurzigma a k čemu měl být používán?

Přípravek Nurzigma byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých s Huntingtonovou chorobou. Huntingtonova choroba je dědičné onemocnění, které se v průběhu času zhoršuje a způsobuje odumírání mozkových buněk. To vede k problémům s pohybem, kognitivními schopnostmi (vnímáním, povědomím, myšlením a úsudkem) a duševním zdravím.

Během posuzování společnost navrhla omezit indikaci na dospělé s Huntingtonovou chorobou v časném stadiu, kteří nejsou léčeni antidopaminergními léčivými přípravky. Tyto léčivé přípravky se běžně používají u pacientů s Huntingtonovou chorobou k léčbě chorey (škubavých a mimovolních pohybů) a behaviorálních příznaků (např. agrese).

Přípravek Nurzigma obsahuje léčivou látku pridopidin a měl být dostupný ve formě tvrdých tobolek.

Přípravek Nurzigma byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 20. června 2005. Přípravek měl být určen k léčbě Huntingtonovy choroby. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Jak přípravek Nurzigma působí?

Léčivá látka v přípravku Nurzigma, pridopidin, aktivuje bílkovinu zvanou receptor sigma-1 (S1R). S1R se nachází uvnitř buněk a podílí se na buněčných procesech, které přispívají ke zdraví a přežití nervových buněk. Očekávalo se, že aktivací S1R pridopidin zmírní buněčné procesy, které se podílejí na poškození nervových buněk a Huntingtonově chorobě.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky hlavní studie, do které bylo zařazeno 499 dospělých ve věku od 25 let s Huntingtonovou chorobou v časném stadiu. Pacientům v této studii byl podáván buď přípravek Nurzigma, nebo placebo (neúčinný přípravek). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna skóre celkové funkční kapacity (TFC) po 65 týdnech léčby. Skóre TFC hodnotí, jak dobře dokáže osoba s onemocněním postihujícím nervový systém vykonávat každodenní úkoly a činnosti. Společnost rovněž předložila výsledky analýz podskupiny 208 pacientů z hlavní studie, konkrétně dospělých s Huntingtonovou chorobou v časném stadiu, kteří nebyli léčeni antidopaminergními léčivými přípravky. Společnost navíc předložila výsledky tří podpůrných studií u dospělých s Huntingtonovou chorobou.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Počáteční hodnocení bylo dokončeno v červenci 2025 a Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila registraci zamítnout. Společnost poté požádala o přezkoumání doporučení agentury, svou žádost však stáhla ještě před jeho ukončením.

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?

V počátečním hodnocení agentura dospěla k závěru, že hlavní studie a podpůrné studie neposkytly důkazy o tom, že přípravek Nurzigma je u pacientů s Huntingtonovou chorobou v časném stadiu účinný. Agentura konstatovala, že platnost a relevantnost výsledků analýz podskupiny pacientů (dospělých s Huntingtonovou chorobou v časném stadiu, kteří nebyli léčeni antidopaminergními léčivými přípravky) z hlavní studie nebyly prokázány.

Agentura byla proto toho názoru, že účinnost přípravku Nurzigma nebyla prokázána. Přestože společnost požádala o podmíněnou registraci přípravku, přípravek nesplňoval kritéria pro udělení tohoto typu registrace. Agentura proto doporučila podmíněnou registraci zamítnout.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje, protože k plnému vyřešení otázek Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury je zapotřebí shromáždit další klinické údaje.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Nurzigma podáván v rámci léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Nurzigma podáván v rámci léčby z humánních důvodů.

Pokud jste zařazeni do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Nurzigma podáván v rámci léčby z humánních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.