



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Nurzigma (pridopidin)

Prilenia Therapeutics B.V. trak sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for Nurzigma, et lægemiddel til behandling af voksne med Huntingtons sygdom.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 7. november 2025.

Hvad er Nurzigma, og hvad forventedes det anvendt til?

Nurzigma blev udviklet som et lægemiddel til behandling af voksne med Huntingtons sygdom. Huntingtons sygdom er en arvelig sygdom, der forværres med tiden og får hjernecellerne til at dø. Dette fører til problemer med bevægelse, kognition (opfattelse, bevidsthed, tænkning og dømmekraft) og mental sundhed.

Under vurderingen foreslog virksomheden at begrænse indikationen til voksne med tidlig Huntingtons sygdom, som ikke behandles med antidopaminerge lægemidler. Disse lægemidler anvendes almindeligvis hos patienter med Huntingtons sygdom til behandling af chorea (rykvise og ufrivillige bevægelser) og adfærdsmæssige symptomer (såsom aggression).

Nurzigma indeholder det aktive stof pridopidin og skulle markedsføres som hårde kapsler.

Nurzigma blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 20. juni 2005 til behandling af Huntingtons sygdom. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Hvordan virker Nurzigma?

Det aktive stof i Nurzigma, pridopidin, aktiverer et protein kaldet sigma-1-receptor (S1R). S1R findes inde i cellerne og medvirker i celleprocesser, der bidrager til nervecellernes sundhed og overlevelse. Ved at aktivere S1R forventedes pridopidin at forbedre de celleprocesser, der er involveret i nervecellebeskadigelse og Huntingtons sygdom.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultater fra et hovedstudie, der omfattede 499 voksne i alderen 25 år og derover med tidlig Huntingtons sygdom. Patienterne i studiet fik enten Nurzigma eller placebo (en

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



uvirksom behandling). Virkningen blev hovedsagelig bedømt på ændringen i scoren for samlet funktionel kapacitet (TFC) efter 65 ugers behandling. TFC-scoren måler, hvor godt en person med en sygdom, der påvirker nervesystemet, kan udføre daglige opgaver og aktiviteter. Virksomheden fremlagde også resultater fra analyser hos en undergruppe af 208 patienter fra hovedstudiet, nemlig voksne med tidlig Huntingtons sygdom, som ikke blev behandlet med antidopaminerge lægemidler. Desuden fremlagde virksomheden resultater fra tre understøttende studier hos voksne med Huntingtons sygdom.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Den første vurdering blev afsluttet i juli 2025, hvor Det Europæiske Lægemiddelagentur anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse. Virksomheden anmodede dernæst om en revurdering af agenturets anbefaling, men trak ansøgningen tilbage, inden revurderingen var færdig.

Hvad var hovedårsagerne til afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse?

På tidspunktet for den indledende vurdering fandt agenturet, at hovedstudiet og de understøttende studier ikke havde givet dokumentation for, at Nurzigma er effektivt hos patienter med tidlig Huntingtons sygdom. Agenturet bemærkede, at gyldigheden og relevansen af resultaterne af analyserne i undergruppen af patienter (voksne med tidlig Huntingtons sygdom, som ikke blev behandlet med antidopaminerge lægemidler) fra hovedstudiet ikke er blevet påvist.

Agenturet var derfor af den opfattelse, at virkningen af Nurzigma ikke var påvist. Selv om virksomheden ansøgte om en betinget markedsføringstilladelse, opfyldte lægemidlet ikke kriterierne for udstedelse af denne type tilladelse. Agenturet anbefalede derfor at give afslag på markedsføringstilladelsen på særlige vilkår.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at tilbagetrækningen skyldtes behovet for at indsamle yderligere kliniske data for fuldt ud at kunne besvare de spørgsmål, som agenturets Udvalg for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP) havde rejst.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har informeret agenturet om, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Nurzigma eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.