



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

14 Νοεμβρίου 2025
EMA/358840/2025
EMA/H/C/006261

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Nurzigma (πριδοπιδίνη)

Η Prilenia Therapeutics B.V. απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Nurzigma, ένα φάρμακο που προορίζεται για τη θεραπεία ενηλίκων με νόσο του Huntington.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 7 Νοεμβρίου 2025.

Τι είναι το Nurzigma και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Nurzigma αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία ενηλίκων που πάσχουν από τη νόσο του Huntington. Η νόσος του Huntington είναι μια κληρονομική πάθηση που επιδεινώνεται με την πάροδο του χρόνου και προκαλεί τον θάνατο των εγκεφαλικών κυττάρων. Οι εν λόγω διαταραχές προκαλούν προβλήματα στην κίνηση, τη γνωστική ικανότητα (αντίληψη, ευαισθητοποίηση, σκέψη και κρίση) και την ψυχική υγεία.

Κατά τη διάρκεια της αξιολόγησης, η εταιρεία πρότεινε τον περιορισμό της ένδειξης σε ενήλικες με πρώιμη νόσο του Huntington, οι οποίοι δεν λαμβάνουν θεραπεία με αντιντοπαμινεργικά φάρμακα. Τα φάρμακα αυτά χρησιμοποιούνται συχνά σε ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο του Huntington για τη θεραπεία της χορείας (σπασμωδικές και ακούσιες κινήσεις) και των συμπτωμάτων συμπεριφοράς (όπως επιθετικότητα).

Το Nurzigma περιέχει τη δραστική ουσία πριδοπιδίνη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή σκληρών καψακίων.

Το Nurzigma χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 20 Ιουνίου 2005 για τη θεραπεία της νόσου του Huntington. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Πώς δρα το Nurzigma;

Η δραστική ουσία του Nurzigma, η πριδοπιδίνη, ενεργοποιεί μια πρωτεΐνη που ονομάζεται υποδοχέας σίγμα-1 (S1R). Ο S1R βρίσκεται στο εσωτερικό των κυττάρων και συμμετέχει σε κυτταρικές διεργασίες που συμβάλλουν στην υγεία και την επιβίωση των νευρικών κυττάρων. Με την ενεργοποίηση του S1R, η πριδοπιδίνη αναμενόταν να βελτιώσει τις κυτταρικές διεργασίες που εμπλέκονται στην πρόκληση βλάβης των νευρικών κυττάρων και νόσου του Huntington.

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



Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα μιας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 499 ενήλικες ηλικίας 25 ετών και άνω με πρώιμη νόσο του Huntington. Στους ασθενείς που μετείχαν στη μελέτη χορηγήθηκε είτε Nurzigma είτε εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή της βαθμολογίας της συνολικής λειτουργικής ικανότητας (TFC) μετά από 65 εβδομάδες θεραπείας. Η βαθμολογία TFC μετρά πόσο καλά μπορεί ένα άτομο με νόσο που προσβάλλει το νευρικό σύστημα να εκτελεί καθημερινά καθήκοντα και δραστηριότητες. Η εταιρεία παρουσίασε επίσης τα αποτελέσματα των αναλύσεων που πραγματοποιήθηκαν σε μια υποομάδα 208 ασθενών που μετείχαν στην κύρια μελέτη, συγκεκριμένα σε ενήλικες με πρώιμη νόσο του Huntington, οι οποίοι δεν έλαβαν θεραπεία με αντίντοπαμινεργικά φάρμακα. Επιπλέον, η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα 3 υποστηρικτικών μελετών σε ενήλικες με τη νόσο του Huntington.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αρχική αξιολόγηση ολοκληρώθηκε τον Ιούλιο του 2025, όταν ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας. Η εταιρεία αιτήθηκε επανεξέταση της γνώμης του Οργανισμού, αλλά απέσυρε την αίτηση πριν από την ολοκλήρωση της εν λόγω επανεξέτασης.

Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας;

Κατά την αρχική αξιολόγηση, ο Οργανισμός έκρινε ότι η κύρια μελέτη και οι υποστηρικτικές μελέτες δεν παρείχαν στοιχεία που να αποδεικνύουν την αποτελεσματικότητα του Nurzigma σε ασθενείς με πρώιμη νόσο του Huntington. Ο Οργανισμός επισήμανε ότι δεν έχει καταδειχθεί η εγκυρότητα και η συνάφεια των αποτελεσμάτων των αναλύσεων στην υποομάδα ασθενών που μετείχαν στην κύρια μελέτη (ενήλικες με πρώιμη νόσο του Huntington, οι οποίοι δεν έλαβαν θεραπεία με αντίντοπαμινεργικά φάρμακα).

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι η αποτελεσματικότητα του Nurzigma δεν είχε αποδειχθεί. Παρόλο που η εταιρεία υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας υπό όρους, το φάρμακο δεν πληρούσε τα κριτήρια για τη χορήγηση αυτού του είδους άδειας κυκλοφορίας. Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας υπό όρους.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι αποφάσισε να αποσύρει την αίτηση λόγω της ανάγκης συλλογής πρόσθετων κλινικών δεδομένων, προκειμένου να εξεταστούν πλήρως τα ερωτήματα που έθεσε η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού.

Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι η απόρριψη της αίτησης δεν έχει συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Nurzigma.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.