



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nurzigmaa (pridopidiini) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Prilenia Therapeutics B.V. peruutti Nurzigma-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Nurzigma on lääke, joka on tarkoitettu Huntingtonin tautia sairastavien aikuisten hoitoon.

Yhtiö peruutti hakemuksen 7. marraskuuta 2025.

Mitä Nurzigma on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Nurzigma kehitettiin lääkkeeksi Huntingtonin tautia sairastavien aikuisten hoitoon. Huntingtonin tauti on perinnöllinen sairaus, joka pahenee ajan myötä ja tuhoaa aivosoluja. Tämä puolestaan aiheuttaa liikkumiseen, kognitioon (havaitseminen, tietoisuus, ajattelu ja arvostelukyky) ja mielenterveyteen liittyviä ongelmia.

Arvioinnin aikana yhtiö ehdotti käyttöaiheen rajoittamista varhaisvaiheen Huntingtonin tautia sairastaviin aikuisiin, joita ei hoideta antidopaminergisillä lääkkeillä. Näitä lääkkeitä käytetään yleisesti Huntingtonin tautia sairastavilla potilailla korean (nykimisen ja tahattomien liikkeiden) ja käytösoireiden (kuten aggressiivisuuden) hoitoon.

Nurzigman vaikuttava aine on pridopidiini, ja sitä oli määrä olla saatavana kovina kapseleina.

Nurzigma nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 20. kesäkuuta 2005 Huntingtonin taudin hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Miten Nurzigma vaikuttaa?

Nurzigman vaikuttava aine pridopidiini aktivoi sigma-1-reseptori -nimisen (S1R) proteiinin. Solujen sisällä esiintyvä S1R osallistuu hermosolujen terveyttä ja hermosolujen elossapysymistä edistäviin soluprosesseihin. Aktivoimalla S1R:ää pridopidiinin odotettiin parantavan hermosolujen vaurioitumiseen ja Huntingtonin tautiin liittyviä soluprosesseja.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 499 vähintään 25-vuotiasta aikuista, joilla oli Huntingtonin taudin varhainen vaihe. Tutkimukseen osallistuneille potilaille annettiin joko Nurzigmaa tai lumelääkettä. Tehon pääasiallisena mittana oli kokonaistoimintakyvyn (TFC) pistemäärän muutos 65 hoitoviikon jälkeen. Kokonaistoimintakyvyn pisteytyksellä mitataan sitä, miten hyvin hermostoon vaikuttavaa sairautta sairastava henkilö suoriutuu päivittäisistä tehtävistä ja toiminnoista. Yhtiö esitti myös tulokset analyyseista alaryhmässä, johon osallistui 208 päätutkimuksen potilasta, eli varhaisvaiheen Huntingtonin tautia sairastavaa aikuista, joita ei ollut hoidettu antidopaminergisillä lääkkeillä. Lisäksi yhtiö esitti tulokset kolmesta tukea antavasta tutkimuksesta, jotka tehtiin Huntingtonin tautia sairastavilla aikuisilla.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Alustava arviointi saatiin päätökseen heinäkuussa 2025, kun Euroopan lääkevirasto suositteli myyntiluvan epäämistä. Lääkeyhtiö pyysi viraston suosituksen uudelleenarviointia, mutta se peruutti hakemuksen ennen uudelleenarvioinnin päättymistä.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Alustavan arvioinnin ajankohtana virasto katsoi, että päätutkimuksessa ja sitä tukevissa tutkimuksissa ei saatu näyttöä Nurzigman tehosta varhaisvaiheen Huntingtonin tautia sairastavilla potilailla. Virasto totesi, että päätutkimuksen potilaista koostuvassa alaryhmässä (varhaisvaiheen Huntingtonin tautia sairastavat aikuiset, joita ei ole hoidettu antidopaminergisillä lääkkeillä) tehtyjen analyysien tulosten validiteettia ja merkityksellisyyttä ei ole osoitettu.

Näin ollen virasto katsoi, että Nurzigman tehoa ei ollut osoitettu. Vaikka yhtiö haki ehdollista myyntilupaa, lääke ei täyttänyt tämäntyyppisen myyntiluvan myöntämisen kriteerejä. Tämän vuoksi virasto suositteli ehdollisen myyntiluvan epäämistä.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#) yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta ja toteaa, että peruuttaminen perustuu tarpeeseen kerätä lisää klinisiä tietoja, jotta viraston ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevän komitean (CHMP) esiin tuomiin kysymyksiin voidaan vastata täysimääräisesti.

Vaikuttaako hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Lääkeyhtiö ilmoitti virastolle, ettei päätöksellä ole seurauksia Nurzigmaa koskeviin klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmaan osallistuville potilaille.

Jos olet mukana klinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä klinisen tutkimuksen lääkäriin.