



14 novembre 2025
EMA/358840/2025
EMEA/H/C/006261

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Nurzigma (pridopidine)

Prilenia Therapeutics B.V. a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Nurzigma, un médicament destiné au traitement de la maladie de Huntington chez les adultes.

La société a retiré sa demande le 7 novembre 2025.

Qu'est-ce que Nurzigma et dans quel cas devait-il être utilisé?

Nurzigma a été développé en tant que médicament destiné au traitement des adultes atteints de la maladie de Huntington. La maladie de Huntington est une maladie génétique qui s'aggrave au fil du temps et qui provoque la mort des cellules cérébrales. Elle entraîne des troubles moteurs, cognitifs (perception, conscience, réflexion et jugement) et de santé mentale.

Au cours de l'évaluation, la société a proposé de restreindre l'indication aux adultes atteints de la maladie de Huntington précoce non traités par médicaments antidopaminergiques. Ceux-ci sont habituellement utilisés chez les patients atteints de la maladie de Huntington afin de traiter la chorée (mouvements saccadés involontaires) et les symptômes comportementaux (tels que l'agressivité).

Nurzigma contient la substance active pridopidine et devait être commercialisé sous forme de gélules.

Nurzigma avait été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour les maladies rares) le 20 juin 2005, afin de traiter la maladie de Huntington. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Comment Nurzigma agit-il?

La substance active de Nurzigma, la pridopidine, active une protéine appelée récepteur Sigma-1 (S1R). S1R se trouve à l'intérieur des cellules et intervient dans les processus cellulaires qui contribuent au maintien en bon état et à la survie des cellules nerveuses. En activant la protéine S1R, la pridopidine devait améliorer les processus cellulaires intervenant dans les lésions des cellules nerveuses et la maladie de Huntington.



Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société avait présenté les résultats d'une étude principale portant sur 499 adultes âgés de 25 ans et plus atteints de la maladie de Huntington précoce. Les patients participant à l'étude avaient reçu soit Nurzigma, soit un placebo (un traitement fictif). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était l'évolution du score de capacité fonctionnelle totale (TFC) après 65 semaines de traitement. Le score TFC mesure la capacité à accomplir des tâches et activités quotidiennes d'une personne atteinte d'une maladie affectant le système nerveux. La société avait également présenté les résultats d'analyses réalisées dans un sous-groupe de 208 patients issus de l'étude principale, à savoir des adultes atteints de la maladie de Huntington précoce non traités par médicaments antidopaminergiques. En outre, la société avait présenté les résultats de trois études justificatives menées chez des adultes atteints de la maladie de Huntington.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

L'évaluation initiale s'est achevée en juillet 2025, lorsque l'Agence européenne des médicaments a recommandé de refuser l'autorisation de mise sur le marché. La société a ensuite sollicité un réexamen de la recommandation de l'Agence, mais ce réexamen n'était pas encore terminé lorsque la société a retiré sa demande.

Quels étaient les principaux motifs ayant conduit au refus de l'autorisation de mise sur le marché?

Au moment de l'évaluation initiale, l'Agence a considéré que l'étude principale et les études justificatives n'avaient pas apporté la preuve de l'efficacité de Nurzigma chez les patients atteints de la maladie de Huntington précoce. L'Agence a noté que la validité et la pertinence des résultats des analyses réalisées dans le sous-groupe de patients (adultes atteints de la maladie de Huntington précoce non traités par médicaments antidopaminergiques) issu de l'étude principale n'avaient pas été démontrées.

Par conséquent, l'Agence a estimé que l'efficacité de Nurzigma n'avait pas été prouvée. Bien que la société ait demandé une autorisation de mise sur le marché conditionnelle, le médicament ne satisfaisait pas aux critères d'octroi de ce type d'autorisation. En conséquence, l'Agence a recommandé de refuser l'autorisation de mise sur le marché conditionnelle.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué que le retrait était fondé sur la nécessité de recueillir des données cliniques supplémentaires afin de répondre amplement aux questions soulevées par le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence.

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques ou des programmes d'utilisation compassionnelle utilisant Nurzigma.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et que vous souhaitez obtenir des informations supplémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.