



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Nurzigma (pridopidin)

Tvrtka Prilenia Therapeutics B.V. povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Nurzigma, namijenjenog liječenju odraslih osoba s Huntingtonovom bolešću.

Tvrtka je povukla zahtjev 7. studenoga 2025.

Što je lijek Nurzigma i za što se trebao koristiti?

Lijek Nurzigma razvijen je kao lijek za liječenje odraslih osoba s Huntingtonovom bolešću. Huntingtonova bolest nasljedno je stanje koje se s vremenom pogoršava i uzrokuje odumiranje stanica mozga. To dovodi do problema s kretanjem, kognitivnim funkcijama (percepcijom, sviješću, razmišljanjem i prosudbom) te mentalnim zdravljem.

Tijekom procjene tvrtka je predložila da se indikacija ograniči na odrasle osobe u ranom stadiju Huntingtonove bolesti koje nisu liječene dopaminskim antagonistima. Ti se lijekovi obično primjenjuju u bolesnika s Huntingtonovom bolešću za liječenje koreje (trajnih i nevoljnih pokreta) i bihevioralnih simptoma (kao što je agresija).

Nurzigma sadrži djelatnu tvar pridopidin i trebao je biti dostupan u obliku tvrdih kapsula.

Lijek Nurzigma uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti 20. lipnja 2005. za liječenje Huntingtonove bolesti. Dodatne informacije o uvrštenju na popis lijekova za rijetke bolesti dostupne su na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Kako djeluje Nurzigma?

Djelatna tvar lijeka Nurzigma, pridopidin, aktivira protein naziva sigma-1 receptor (S1R). S1R se nalazi unutar stanica i sudjeluje u staničnim procesima koji doprinose zdravlju i preživljavanju živčanih stanica. Očekivalo se da će aktiviranjem proteina S1R pridopidin ublažiti stanične procese koji su uključeni u nastanak oštećenja živčanih stanica i Huntingtonove bolesti.

Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila rezultate glavnog ispitivanja u kojem je sudjelovalo 499 odraslih osoba u dobi od 25 godina i starijih u ranom stadiju Huntingtonove bolesti. Bolesnici koji su sudjelovali u ispitivanju

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



primali su lijek Nurzigma ili placebo (prividno liječenje). Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena rezultata ukupnog funkcionalnog kapaciteta (engl. *total functional capacity*, TFC) nakon 65 tjedana liječenja. Vrijednošću TFC-a mjeri se koliko dobro osoba s bolešću koja utječe na živčani sustav može obavljati svakodnevne poslove i aktivnosti. Tvrtka je također predstavila rezultate analiza u podskupini od 208 bolesnika iz glavnog ispitivanja, odnosno odraslih osoba u ranom stadiju Huntingtonove bolesti koje nisu bile liječene dopaminskim antagonistima. Osim toga, tvrtka je predstavila rezultate triju potpunih ispitivanja u odraslih osoba oboljelih od Huntingtonove bolesti.

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Početna procjena završena je u srpnju 2025., kada je Europska agencija za lijekove preporučila odbijanje izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet. Tvrtka je zatim zatražila preispitivanje preporuke Agencije, ali je povukla zahtjev prije završetka tog preispitivanja.

Koji su bili glavni razlozi za odbijanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet?

U vrijeme početne procjene Agencija je smatrala da glavno ispitivanje i popratna ispitivanja nisu pružili dokaze o učinkovitosti lijeka Nurzigma u bolesnika u ranom stadiju Huntingtonove bolesti. Agencija je napomenula da valjanost i relevantnost rezultata analiza u podskupini bolesnika (odraslih osoba u ranom stadiju Huntingtonove bolesti koje nisu liječene dopaminskim antagonistima) iz glavnog ispitivanja nisu dokazane.

Stoga je mišljenje Agencije bilo da učinkovitost lijeka Nurzigma nije dokazana. Iako je tvrtka podnijela zahtjev za uvjetno odobrenje za stavljanje u promet, lijek nije ispunjavao kriterije za izdavanje te vrste odobrenja. Stoga je Agencija preporučila odbijanje uvjetnog odobrenja za stavljanje u promet.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da se povlačenje temelji na potrebi prikupljanja dodatnih kliničkih podataka kako bi se u potpunosti odgovorilo na pitanja koja je postavio Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) Agencije.

Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja ili programe milosrdnog davanja lijekova u kojima se koristi lijek Nurzigma.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili programu milosrdnog davanja lijekova te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.