



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## A Nurzigma-ra (pridopidin) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Prilenia Therapeutics B.V. visszavonta a Huntington-kórban szenvedő felnőttek kezelésére szánt Nurzigma gyógyszer forgalombahozatali engedélye iránti kérelmét.

A vállalat 2025. november 7-én visszavonta a kérelmet.

### Milyen típusú gyógyszer a Nurzigma és milyen alkalmazásra szánták?

A Nurzigma-t a Huntington-kórban szenvedő felnőttek kezelésére szolgáló gyógyszerként fejlesztették ki. A Huntington-kór egy örökletes betegség, amely idővel súlyosbodik, és az agysejtek pusztulását okozza. Ez a mozgással, a felismeréssel (érzékelés, tudatosság, gondolkodás és ítélőképesség) és a mentális egészséggel kapcsolatos problémákhoz vezet.

Az értékelés során a vállalat azt javasolta, hogy a javallatot a korai Huntington-kórban szenvedő olyan felnőttekre korlátozzák, akiket nem kezelnek antidopaminerg gyógyszerekkel. Ezeket a gyógyszereket gyakran alkalmazzák Huntington-kórban szenvedő betegeknél chorea (rángatózó és akaratlan mozgások) és viselkedési tünetek (például agresszió) kezelésére.

A Nurzigma hatóanyaga a pridopidin, és kemény kapszula formájában lett volna kapható.

A Nurzigma-t 2005. június 20-án a Huntington-betegség kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288).

### Hogyan fejti ki hatását a Nurzigma?

A Nurzigma hatóanyaga, a pridopidin aktiválja a szigma-1 receptor (S1R) nevű fehérjét. Az S1R a sejtek belsejében található, és olyan sejtfolyamatokban vesz részt, amelyek hozzájárulnak az idegsejtek egészségéhez és túléléséhez. Az S1R aktiválásával a pridopidin várhatóan javítja az idegsejt-károsodásban és a Huntington-betegségben szerepet játszó sejtfolyamatokat.

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amelyben 499, korai Huntington-betegségben szenvedő, 25 éves és idősebb felnőtt vett részt. A vizsgálatban részt vevő betegek Nurzigma-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kaptak. A hatásosság fő mutatója a teljes funkcionális kapacitásra (TFC) vonatkozó pontszám változása volt 65 hetes kezelést követően. A TFC-pontszám azt méri, hogy az idegrendszert érintő betegségben szenvedő személy mennyire képes ellátni a napi feladatokat és tevékenységeket. A vállalat a fő vizsgálatban részt vevő 208 betegből álló alcsoport, nevezetesen a korai Huntington-kórban szenvedő, antidopaminerg gyógyszerekkel nem kezelt felnőttek elemzéseinek eredményeit is benyújtotta. Emellett a vállalat Huntington-kórban szenvedő felnőtteknél végzett 3 alátámasztó vizsgálat eredményeit mutatta be.

## **A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?**

Az első értékelés 2025 júliusában zárult le, amikor az Európai Gyógyszerügynökség a forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta. A vállalat ezután az Ügynökség ajánlásának felülvizsgálatát kérte, ez a felülvizsgálat azonban még nem fejeződött be, amikor a vállalat visszavonta a kérelmét.

## **Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?**

A kezdeti értékelés idején az Ügynökség úgy vélte, hogy a fő vizsgálat és az alátámasztó vizsgálatok nem nyújtottak bizonyítékot arra vonatkozóan, hogy a Nurzigma hatásos a korai Huntington-kórban szenvedő betegeknek. Az Ügynökség megjegyezte, hogy a fő vizsgálatból származó, a betegek alcsoportjában (korai Huntington-betegségben szenvedő felnőttek, akiket nem kezeltek antidopaminerg gyógyszerekkel) végzett elemzések eredményeinek érvényességét és relevanciáját nem igazolták.

Ezért az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy a Nurzigma hatásosságát nem igazolták. Bár a vállalat feltételes forgalombahozatali engedély iránti kérelmet nyújtott be, a gyógyszer nem felelt meg az ilyen típusú engedély kiadásához szükséges kritériumoknak. Ennek eredményeként az Ügynökség a feltételes forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat azt állította, hogy a visszavonás azon alapult, hogy további klinikai adatokat kell gyűjteni az Ügynökség emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel foglalkozó bizottsága (CHMP) által felvetett kérdések teljes körű megválaszolása érdekében.

## **Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?**

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a Nurzigma-val végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következmények.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.