



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Nurzigma (pridopidina)

Prilenia Therapeutics B.V. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Nurzigma, un medicinale indicato per il trattamento di adulti affetti dalla malattia di Huntington.

La ditta ha ritirato la domanda il 7 novembre 2025.

Che cos'è Nurzigma e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Nurzigma è stato sviluppato come medicinale per il trattamento di adulti affetti dalla malattia di Huntington. La malattia di Huntington è un'affezione ereditaria che peggiora nel tempo e provoca la morte delle cellule cerebrali. Ciò comporta problemi di movimento, cognizione (percezione, consapevolezza, pensiero e giudizio) e salute mentale.

Durante la valutazione, la ditta ha proposto di limitare l'indicazione agli adulti affetti dalla malattia di Huntington in fase iniziale che non sono trattati con medicinali antidopaminergici. Questi medicinali sono comunemente utilizzati nei pazienti affetti dalla malattia di Huntington per il trattamento della corea (movimenti improvvisi spasmodici e involontari) e dei sintomi comportamentali (come l'aggressione).

Nurzigma contiene il principio attivo pridopidina e doveva essere disponibile sotto forma di capsule rigide.

Nurzigma è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 20 giugno 2005 per il trattamento della malattia di Huntington. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Come agisce Nurzigma?

Il principio attivo di Nurzigma, pridopidina, attiva una proteina denominata recettore sigma-1 (S1R). Il S1R si trova all'interno delle cellule ed è coinvolto in processi cellulari che contribuiscono alla salute e alla sopravvivenza delle cellule nervose. Attivando il S1R, era atteso che pridopidina migliorasse i processi cellulari coinvolti nella lesione delle cellule nervose e nella malattia di 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



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale condotto su 499 adulti di età pari o superiore a 25 anni affetti dalla malattia di Huntington in fase iniziale. Ai pazienti che hanno partecipato allo studio è stato somministrato Nurzigma o placebo (un trattamento fittizio). La principale misura dell'efficacia era la variazione del punteggio della capacità funzionale totale (TFC) dopo 65 settimane di trattamento. Il punteggio TFC misura l'efficacia con cui una persona affetta da una malattia che colpisce il sistema nervoso può svolgere compiti e attività quotidiani. La ditta ha inoltre presentato i risultati delle analisi in un sottogruppo di 208 pazienti dello studio principale, vale a dire adulti affetti dalla malattia di Huntington in fase iniziale che non sono stati trattati con medicinali antidopaminergici. La ditta ha inoltre presentato i risultati di 3 studi di sostegno condotti su adulti affetti dalla malattia di Huntington.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La valutazione iniziale si è conclusa nel luglio 2025, quando l'Agenzia europea per i medicinali ha raccomandato di rifiutare l'autorizzazione all'immissione in commercio. La ditta ha poi richiesto un riesame della raccomandazione dell'Agenzia, ritirando tuttavia la domanda prima che tale riesame fosse terminato.

Quali sono stati i motivi principali del rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

Al momento della valutazione iniziale, l'Agenzia ha ritenuto che lo studio principale e gli studi di supporto non fossero in grado di fornire prove dell'efficacia di Nurzigma nei pazienti affetti dalla malattia di Huntington in fase iniziale. L'Agenzia ha osservato che la validità e la pertinenza dei risultati delle analisi nel sottogruppo di pazienti (adulti con malattia di Huntington in fase iniziale che non sono stati trattati con medicinali antidopaminergici) dello studio principale non sono state dimostrate.

Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che l'efficacia di Nurzigma non fosse stata dimostrata. Sebbene la ditta abbia presentato una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni, il medicinale non soddisfaceva i criteri per il rilascio di questo tipo di autorizzazione. Di conseguenza, l'Agenzia ha raccomandato di rifiutare l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che il ritiro si basava sulla necessità di acquisire dati clinici supplementari per rispondere pienamente alle domande poste dal comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia.

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole con Nurzigma.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.