



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. lapkričio 14 d.
EMA/358840/2025
EMA/H/C/006261

Paraiškos gauti Nurzigma (pridopidino) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Prilenia Therapeutics B.V.“ atsiėmė savo paraišką gauti vaisto Nurzigma, skirto Hantingtono liga sergantiems suaugusiems gydyti, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2025 m. lapkričio 7 d.

Kas yra Nurzigma ir kokiais atvejais ji buvo numatyta vartoti?

Nurzigma buvo sukurtas Hantingtono liga sergantiems suaugusiems gydyti. Hantingtono liga yra paveldima. Laikui bėgant ji paūmėja ir sukelia galvos smegenų ląstelių žūtį. Tai sukelia judėjimo, kognityvinės funkcijos (suvokimo, sąmoningumo, mąstymo ir nuomonės) ir psichikos sveikatos problemų.

Vertinimo metu bendrovė pasiūlė apriboti indikaciją, numatant galimybę vaistą vartoti tik tiems ankstyvąja Hantingtono liga sergantiems suaugusiems, kurie nėra gydomi antidopaminerginiais vaistais. Šie vaistai paprastai skiriami Hantingtono liga sergantiems pacientams chorėjai (trūkčiojantiems ir nevalingiems judesiams) ir elgesio simptomams (pvz., agresijai) gydyti.

Nurzigma sudėtyje yra veikliosios medžiagos pridopidino ir ji buvo numatyta tiekti kietųjų kapsulių forma.

2005 m. birželio 20 d. Nurzigma buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal Hantingtono ligos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite agentūros tinklalapyje adresu:

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

Kaip veikia Nurzigma?

Nurzigma veiklioji medžiaga pridopidinas aktyvina baltymą, vadinamą sigma-1 receptoriumi (S1R). S1R randamas ląstelių viduje ir dalyvauja ląstelių procesuose, kurie lemia nervinių ląstelių sveikatą ir išgyvenimą. Aktyvavus S1R, buvo tikimasi, kad pridopidinas pagerins ląstelių procesus, susijusius su nervinių ląstelių pažeidimu ir Hantingtono liga.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 499 ankstyvąją Hantingtono liga sergantys 25 metų ir vyresni suaugusieji, rezultatus. Tyrime dalyvavusiems pacientams buvo skiriamas Nurzigma arba placebo (preparatas be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo bendro funkcinio pajėgumo (BFP) balo pokytis po 65 gydymo savaičių. Pagal BFP skalę vertinama, kaip nervų sistemą pažeidžiančia liga sergantis asmuo gali atlikti kasdienės užduotis ir veiksmus. Bendrovė taip pat pateikė pagrindinio tyrimo ankstyvosios stadijos Hantingtono liga sergančių 208 suaugusiųjų pogrupio, kurie nebuvo gydomi antidopaminerginiais vaistais, analizės rezultatus. Be to, bendrovė pateikė 3 papildomų tyrimų, kuriuose dalyvavo Hantingtono liga sergantys suaugusieji, rezultatus.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Pirminis vertinimas užbaigtas 2025 m. liepos mėn., pagal kurį Europos vaistų agentūra rekomendavo nesuteikti šio vaisto registracijos pažymėjimo. Tada bendrovė paprašė pakartotinai išnagrinėti Agentūros pateiktą rekomendaciją, bet atsiėmė paraišką, kai ši pakartotinio nagrinėjimo procedūra dar nebuvo užbaigta.

Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota neišduoti registracijos pažymėjimo?

Pirminio vertinimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad pagrindiniame tyrime ir patvirtinamuosiuose tyrimuose nepateikta įrodymų, kad Nurzigma yra veiksmingas ankstyvąją Hantingtono liga sergantiems pacientams. Agentūra atkreipė dėmesį į tai, kad pagrindinio tyrimo pacientų (ankstyvosios stadijos Hantingtono liga sergančių suaugusiųjų, kurie nebuvo gydomi antidopaminerginiais vaistais) pogrupyje atliktų analizių rezultatų pagrįstumas ir aktualumas nebuvo įrodytas.

Todėl Agentūra laikėsi nuomonės, kad Nurzigma veiksmingumas neįrodytas. Nors bendrovė pateikė paraišką dėl sąlyginės registracijos, vaistas neatitiko šios rūšies registracijos pažymėjimo suteikimo kriterijų. Todėl Agentūra rekomendavo nesuteikti sąlyginės registracijos pažymėjimo.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad paraiška atsiimta dėl to, kad reikia surinkti papildomų klinikinių duomenų, kuriais būtų galima visapusiškai atsakyti į Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komiteto (CHMP) iškeltus klausimus.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad šis atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems Nurzigma klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.