



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. gada 14. novembris
EMA/358840/2025
EMA/H/C/006261

Nurzigma (pridopidīna) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Prilenia Therapeutics B.V. atsauca reģistrācijas apliecības pieteikumu zālēm *Nurzigma*, kas paredzētas pieaugušo ar Hantingtona slimību ārstēšanai.

Uzņēmums pieteikumu atsauca 2025. gada 7. novembrī.

Kas ir *Nurzigma*, un kādam nolūkam tās bija paredzēts lietot?

Nurzigma tika izstrādāta kā zāles pieaugušo ar Hantingtona slimību ārstēšanai. Hantingtona slimība ir iedzimta slimība, kas laika gaitā progresē un izraisa smadzeņu šūnu bojāeju. Tas rada problēmas ar kustībām, kognitīvām funkcijām (uztveri, apziņu, domāšanu un spriestspēju) un garīgo veselību.

Novērtēšanas laikā uzņēmums ierosināja ierobežot indikāciju, attiecinot to tikai uz pieaugušajiem ar agrīnu Hantingtona slimību, kuri netiek ārstēti ar antidopamīnērgiskām zālēm. Šīs zāles parasti lieto pacientiem ar Hantingtona slimību, lai ārstētu horeju (straujas un neapzinātas kustības) un uzvedības simptomus (piemēram, agresiju).

Nurzigma satur aktīvo vielu pridopidīnu, un bija paredzēts, ka tās būs pieejamas kā cietās kapsulas.

2005. gada 20. jūnijā *Nurzigma* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss Hantingtona slimības ārstēšanai. Sīkāka informācija par reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Kā *Nurzigma* darbojas?

Nurzigma aktīvā viela pridopidīns aktivizē proteīnu, ko dēvē par sigma-1 receptoru (S1R). S1R atrodas šūnās un ir iesaistīts šūnu procesos, kas veicina nervu šūnu veselību un izdzīvošanu. Bija paredzēts, ka, aktivizējot S1R, pridopidīns uzlabos šūnu procesus, kas ir saistīti ar nervu šūnu bojājumiem un Hantingtona slimību.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no pamatpētījuma, kurā piedalījās 499 pieaugušie vecumā no 25 gadiem ar agrīnu Hantingtona slimību. Pētījumā pacienti saņēma vai nu *Nurzigma*, vai placebo

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



(fiktīva ārstēšana). Galvenais iedarbīguma rādītājs bija kopējās funkcionālās spējas (TFC) rādītāja izmaiņas pēc 65 ārstēšanas nedēļām. TFC rādītājs mēra, cik labi persona ar slimību, kas ietekmē nervu sistēmu, var veikt ikdienas uzdevumus un darbības. Uzņēmums arī iesniedza analīžu rezultātus no pamatpētījuma apakšgrupas, kurā bija 208 pacienti, proti, pieaugušie ar agrīnu Hantingtona slimību, kuri netika ārstēti ar antidopamīnerģiskām zālēm. Turklāt uzņēmums iesniedza rezultātus no trim atbalsta pētījumiem ar pieaugušajiem ar Hantingtona slimību.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauc?

Sākotnējā izvērtēšana tika pabeigta 2025. gada jūlijā, kad Eiropas Zāļu aģentūra ieteica atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu. Uzņēmums pieprasīja Aģentūras ieteikuma atkārtotu izvērtēšanu, taču tad tas atsauc pieteikumu, pirms šī atkārtotā izvērtēšana bija pabeigta.

Kādi bija galvenie iemesli reģistrācijas apliecības atteikumam?

Sākotnējās novērtēšanas laikā aģentūra uzskatīja, ka pamatpētījums un atbalsta pētījumi nesniedza pierādījumus par *Nurzigma* efektivitāti pacientiem ar agrīnu Hantingtona slimību. Aģentūra norādīja, ka nav pierādīta pamatpētījuma pacientu apakšgrupas (pieaugušie ar agrīnu Hantingtona slimību, kuri nav ārstēti ar antidopamīnerģiskām zālēm) analīžu rezultātu pamatotība un atbilstība.

Tāpēc aģentūra uzskatīja, ka nav pierādīta *Nurzigma* efektivitāte. Lai gan uzņēmums iesniedza pieteikumu reģistrācijas apliecības ar nosacījumiem saņemšanai, zāles neatbilda šāda veida reģistrācijas apliecības piešķiršanas kritērijiem. Tāpēc aģentūra ieteica atteikt reģistrācijas apliecību ar nosacījumiem.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka atsaukšana ir pamatota ar nepieciešamību ievākt papildu klīniskos datus, lai pilnībā atbildētu uz aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komitejas (CHMP) uzdotajiem jautājumiem.

Vai šis atsaukums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka atteikums neietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās ar *Nurzigma*.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par savu ārstēšanu, jautājiēt savam klīniskā pētījuma ārstam.