



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

14 listopada 2025 r.
EMA/358840/2025
EMA/H/C/006261

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Nurzigma (pridopidyna)

Firma Prilenia Therapeutics B.V. wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Nurzigma, leku przeznaczonego do leczenia osób dorosłych z chorobą Huntingtona.

Firma wycofała wniosek 7 listopada 2025 r.

Czym jest produkt Nurzigma i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Nurzigma opracowano jako lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z chorobą Huntingtona. Choroba Huntingtona jest chorobą dziedziczną, która powoduje śmierć komórek mózgowych i której stan pogarsza się z biegiem czasu. Prowadzi to do problemów z poruszaniem się, funkcjami poznawczymi (percepcja, świadomość, myślenie i ocena) oraz zdrowiem psychicznym.

W trakcie oceny firma zaproponowała ograniczenie wskazania do osób dorosłych z wczesną chorobą Huntingtona, która nie jest leczona lekami antydopaminergicznymi. Leki te są powszechnie stosowane u pacjentów z chorobą Huntingtona w leczeniu płasawicy (nagłe i mimowolne ruchy) oraz objawów behawioralnych (takich jak agresja).

Substancją czynną zawartą w leku Nurzigma jest pridopidyna. Lek miał być dostępny w postaci kapsułek twardych.

W dniu 20 czerwca 2005 r. lek Nurzigma uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu choroby Huntingtona. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Jak działa produkt Nurzigma?

Substancja czynna leku Nurzigma, pridopidyna, aktywuje białko zwane receptorem sigma-1 (S1R). S1R znajduje się wewnątrz komórek i uczestniczy w procesach komórkowych, które przyczyniają się do zdrowia i przeżycia komórek nerwowych. Dzięki aktywacji S1R oczekiwano, że pridopidyna poprawi procesy komórkowe, które odgrywają rolę w niszczeniu komórek nerwowych i chorobie Huntingtona.

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



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badania głównego z udziałem 499 osób dorosłych w wieku od 25 lat z wczesną chorobą Huntingtona. W badaniu tym pacjentom podawano albo lek Nurzigma, albo placebo (leczenie pozorowane). Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana wyniku w zakresie całkowitej zdolności funkcjonalnej (ang. *total functional capacity*, TFC) po 65 tygodniach leczenia. Wynik w zakresie TFC pozwala określić, jak dobrze osoba z chorobą wpływającą na układ nerwowy może wykonywać codzienne zadania i czynności. Firma przedstawiła również wyniki analiz przeprowadzonych w podgrupie 208 pacjentów z badania głównego, a mianowicie osób dorosłych z wczesną chorobą Huntingtona, którzy nie byli leczeni lekami antydopaminergicznymi. Ponadto firma przedstawiła wyniki 3 badań uzupełniających z udziałem osób dorosłych z chorobą Huntingtona.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wstępna ocena zakończyła się w lipcu 2025 r., kiedy to Europejska Agencja Leków zaleciła odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Firma zwróciła się następnie o ponowną ocenę zalecenia wydanego przez Agencję, ale wycofała wniosek przed jej zakończeniem.

Jakie były główne powody odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?

W momencie wstępnej oceny Agencja uznała, że badanie główne i badania uzupełniające nie dostarczyły dowodów na skuteczność leku Nurzigma u pacjentów z wczesną chorobą Huntingtona. Agencja zwróciła uwagę, że nie wykazano wiarygodności i istotności wyników analiz w podgrupie pacjentów (osób dorosłych z wczesną chorobą Huntingtona, u których nie stosowano leków antydopaminergicznych) z badania głównego.

Dlatego też Agencja wyraziła opinię, że nie wykazano skuteczności produktu Nurzigma. Pomimo że firma złożyła wniosek o warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, to lek nie spełniał kryteriów przyznania tego typu pozwolenia. W związku z tym Agencja zaleciła odmowę przyznania warunkowego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofanie wniosku wynika z konieczności zebrania dodatkowych danych klinicznych, aby w pełni odpowiedzieć na pytania postawione przez Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) przy Agencji.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych ani programach „leczenia ostatniej szansy” z zastosowaniem leku Nurzigma.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.