



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

14 de novembro de 2025
EMA/358840/2025
EMA/H/C/006261

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Nurzigma (pridopidina)

A Prilenia Therapeutics B.V. retirou o seu pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Nurzigma, um medicamento destinado ao tratamento de adultos com doença de Huntington.

A empresa retirou o pedido em 7 de novembro de 2025.

O que é o Nurzigma e qual a utilização prevista?

O Nurzigma foi desenvolvido como um medicamento para o tratamento de adultos com a doença de Huntington. A doença de Huntington é uma doença hereditária que se agrava com o tempo e provoca a morte das células cerebrais. Isto leva a problemas de movimento, cognição (perceção, consciência, pensamento e julgamento) e saúde mental.

Durante a avaliação, a empresa propôs restringir a indicação a adultos com doença precoce de Huntington que não sejam tratados com medicamentos antidopaminérgicos. Estes medicamentos são frequentemente utilizados em doentes com doença de Huntington para tratar a coreia (movimentos súbitos e involuntários) e os sintomas comportamentais (como a agressão).

O Nurzigma contém a substância ativa pridopidina e deveria estar disponível na forma de cápsulas duras.

O Nurzigma foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 20 de junho de 2005 para o tratamento da doença de Huntington. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no sítio da internet da Agência:

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

Como funciona o Nurzigma?

A substância ativa do Nurzigma, a pridopidina, ativa uma proteína denominada recetor sigma-1 (S1R). O S1R encontra-se no interior das células e está envolvido em processos celulares que contribuem para a saúde e a sobrevivência das células nervosas. Ao ativar a S1R, esperava-se que a pridopidina melhorasse os processos celulares envolvidos na lesão das células nervosas e na doença de 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



Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou os resultados de um estudo principal que incluiu 499 adultos com idade igual ou superior a 25 anos com doença precoce de Huntington. Os doentes do estudo receberam o Nurzigma ou um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a alteração da pontuação da capacidade funcional total (TFC) após 65 semanas de tratamento. A pontuação TFC mede até que ponto uma pessoa com uma doença que afeta o sistema nervoso pode desempenhar tarefas e atividades diárias. A empresa também apresentou resultados de análises num subgrupo de 208 doentes do estudo principal, nomeadamente adultos com doença precoce de Huntington que não foram tratados com medicamentos antidopaminérgicos. Além disso, a empresa apresentou os resultados de 3 estudos de suporte realizados em adultos com a doença de Huntington.

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

A avaliação inicial terminou em julho de 2025, quando a Agência Europeia de Medicamentos recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado. Em seguida, a empresa solicitou um reexame da recomendação da Agência, mas retirou o pedido antes de este reexame estar concluído.

Quais foram as principais razões para a recusa da Autorização de Introdução no Mercado?

No momento da avaliação inicial, a Agência considerou que o estudo principal e os estudos de suporte não tinham apresentado provas de que o Nurzigma fosse eficaz em doentes com a doença de Huntington precoce. A Agência observou que a validade e a pertinência dos resultados das análises no subgrupo de doentes (adultos com doença precoce de Huntington que não foram tratados com medicamentos antidopaminérgicos) do estudo principal não foram demonstradas.

Por conseguinte, a Agência considerou que a eficácia de Nurzigma não tinha sido demonstrada. Embora a empresa tenha solicitado uma autorização de introdução no mercado condicional, o medicamento não cumpria os critérios para a concessão deste tipo de autorização. Consequentemente, a Agência recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado condicional.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na sua [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido, a empresa declarou que a retirada se baseava na necessidade de recolher dados clínicos adicionais para responder plenamente às questões suscitadas pelo Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência.

Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso?

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou em programas de uso compassivo com o Nurzigma.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, fale com o médico do ensaio clínico.