



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Nurzigma (pridopidină)

Prilenia Therapeutics B.V. și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Nurzigma, un medicament destinat tratamentului adulților cu boala Huntington.

Compania și-a retras cererea la 7 noiembrie 2025.

Ce este Nurzigma și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Nurzigma a fost dezvoltat ca medicament pentru tratamentul adulților cu boala Huntington. Boala Huntington este o afecțiune ereditară care cu timpul se agravează și cauzează moartea celulelor cerebrale. Acest lucru duce la probleme de mișcare, cogniție (percepție, conștiință, gândire și discernământ) și sănătate mintală.

În cursul evaluării, compania a propus restricționarea indicației la adulții cu boala Huntington cu debut precoce care nu sunt tratați cu medicamente antidopaminergice. Aceste medicamente se utilizează în general la pacienții cu boala Huntington pentru a trata coreea (mișcări spasmodice și involuntare) și a simptomelor comportamentale (de exemplu agresivitatea).

Nurzigma conține substanța activă pridopidină și urma să fie disponibil sub formă de capsule.

Nurzigma a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la data de 20 iunie 2005 pentru tratamentul bolii Huntington. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Cum acționează Nurzigma?

Substanța activă din Nurzigma, pridopidina, activează o proteină numită receptor sigma-1 (S1R). S1R se găsește în interiorul celulelor și este implicat în procese celulare care contribuie la sănătatea și supraviețuirea celulelor nervoase. Prin activarea S1R, pridopidina ar fi trebuit să îmbunătățească procesele celulare implicate în deteriorarea celulelor nervoase și în boala 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



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal care a cuprins 499 de adulți cu vârsta de cel puțin 25 de ani cu boală Huntington precoce. Pacienților din studiu li s-a administrat fie Nurzigma, fie placebo (un preparat inactiv). Principala măsură a eficacității a fost schimbarea scorului capacității funcționale totale (TFC) după 65 de săptămâni de tratament. Scorul TFC măsoară cât de bine poate îndeplini sarcinile și activitățile zilnice o persoană cu o boală care afectează sistemul nervos. Compania a prezentat și rezultatele analizelor efectuate pe un subgrup de 208 pacienți din studiul principal, și anume adulți cu boală Huntington timpurie care nu erau tratați cu medicamente antidopaminergice. În plus, compania a prezentat rezultatele a 3 studii de susținere efectuate la adulți cu boala Huntington.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Evaluarea inițială s-a încheiat în iulie 2025, când Agenția Europeană pentru Medicamente a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață. Compania a solicitat apoi o reexaminare a recomandării agenției, dar și-a retras cererea înainte de încheierea acestei reexaminări.

Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizației de punere pe piață?

La momentul evaluării inițiale, agenția a considerat că studiul principal și studiile de susținere nu au furnizat dovezi care să demonstreze că Nurzigma este eficace la pacienții cu boală Huntington cu debut precoce. Agenția a remarcat că validitatea și relevanța rezultatelor analizelor pe subgrupul de pacienți (adulți cu boala Huntington cu debut precoce care nu erau tratați cu medicamente antidopaminergice) din studiul principal nu au fost demonstrate.

Prin urmare, agenția a considerat că eficacitatea Nurzigma nu a fost demonstrată. Deși compania a solicitat o autorizație de punere pe piață condiționată, medicamentul nu îndeplinea criteriile de acordare a acestui tip de autorizație. Prin urmare, agenția a recomandat refuzarea autorizației de punere pe piață condiționată.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că retragerea s-a bazat pe nevoia de a culege date clinice suplimentare pentru a răspunde pe deplin la întrebările adresate de Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Nurzigma.

Dacă participați la un studiu clinic sau program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.