



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

14. novembra 2025
EMA/358840/2025
EMA/H/C/006261

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Nurzigma (pridopidín)

Spoločnosť Prilenia Therapeutics B.V. stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Nurzigma, ktorý je určený na liečbu dospelých s Huntingtonovou chorobou.

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 7. novembra 2025.

Čo je liek Nurzigma a aké bolo jeho predpokladané použitie?

Liek Nurzigma bol vyvinutý ako liek na liečbu dospelých s Huntingtonovou chorobou. Huntingtonova choroba je dedičné ochorenie, ktoré sa v priebehu času zhoršuje a spôsobuje odumieranie mozgových buniek. To vedie k problémom s pohybom, kognitívnymi schopnosťami (vnímanie, informovanosť, myslenie a úsudok) a duševným zdravím.

Počas posudzovania spoločnosť navrhla obmedziť indikáciu pre dospelých so včasnou Huntingtonovou chorobou, ktorí nie sú liečení antidopaminergickými liekmi. Tieto lieky sa bežne používajú u pacientov s Huntingtonovou chorobou na liečbu chorey (trhavých a mimovoľných pohybov) a behaviorálnych symptómov (ako je agresivita).

Liek Nurzigma obsahuje liečivo pridopidín a mal byť dostupný vo forme tvrdých kapsúl.

Liek Nurzigma bol 20. júna 2005 označený ako liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu Huntingtonovej choroby. Viac informácií o označovaní liekov za lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovom sídle agentúry:

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

Akým spôsobom liek Nurzigma účinkuje?

Liečivo lieku Nurzigma, pridopidín, aktivuje proteín nazývaný receptor sigma-1 (S1R). S1R sa nachádza v bunkách a podieľa sa na bunkových procesoch, ktoré prispievajú k zdraviu a prežitiu nervových buniek. Predpokladá sa, že aktivovaním S1R pridopidín zlepší bunkové procesy, ktoré sa podieľajú na poškodení nervových buniek a Huntingtonovej chorobe.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 499 dospelých vo veku od 25 rokov so včasnou Huntingtonovou chorobou. Pacienti v štúdiu dostávali buď liek Nurzigma alebo placebo (zdanlivý liek). Hlavným meradlom účinnosti bola zmena v skóre celkovej funkčnej kapacity (TTC) po 65 týždňoch liečby. Pomocou skóre TFC sa meria, do akej miery môže osoba s ochorením, ktoré postihuje nervový systém, vykonávať každodenné úlohy a činnosti. Spoločnosť predložila aj výsledky analýz v podskupine 208 pacientov z hlavnej štúdie, konkrétne dospelých so včasnou Huntingtonovou chorobou, ktorí neboli liečení antidopaminergickými liekmi. Spoločnosť okrem toho predložila výsledky z troch podporných štúdií u dospelých s Huntingtonovou chorobou.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Počiatočné hodnotenie sa skončilo v júli 2025, keď Európska agentúra pre lieky odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie na trh. Spoločnosť preto požiadala o opätovné preskúmanie odporúčania agentúry, ale pred ukončením tohto opätovného preskúmania svoju žiadosť stiahla.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

V čase počiatočného hodnotenia agentúra usúdila, že hlavná štúdia a podporné štúdie neposkytli dôkazy o účinnosti lieku Nurzigma u pacientov so včasnou Huntingtonovou chorobou. Agentúra poznamenala, že sa nepreukázala platnosť a relevantnosť výsledkov analýz v podskupine pacientov (dospelí so včasnou Huntingtonovou chorobou, ktorí neboli liečení antidopaminergickými liekmi) z hlavnej štúdie.

Agentúra preto dospela k názoru, že účinnosť lieku Nurzigma nebola preukázaná. Hoci spoločnosť požiadala o povolenie na uvedenie na trh s podmienkou, liek nespĺňal kritériá na udelenie tohto typu povolenia. Agentúra preto odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie na trh s podmienkou.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť sťahuje z dôvodu potreby zhromaždiť ďalšie klinické údaje, aby mohla v plnej miere riešiť otázky, ktoré položil Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry.

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že zamietnutie nemá žiadne dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach lieku Nurzigma alebo na programoch na jeho použitie v naliehavých prípadoch.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.