



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Nurzigma (pridopidin)

Podjetje Prilenia Therapeutics B.V. je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Nurzigma, namenjenim zdravljenju odraslih s Huntingtonovo boleznijo.

Podjetje je vlogo umaknilo 7. novembra 2025.

Kaj je zdravilo Nurzigma in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Nurzigma je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje odraslih s Huntingtonovo boleznijo. Huntingtonova bolezen je dedna bolezen, ki se sčasoma poslabšuje in povzroča odmrtnje možganskih celic. To povzroča težave z gibanjem, kognitivnimi sposobnostmi (zaznavanje, pozornost, miselni procesi in presoja) ter duševnim zdravjem.

Med ocenjevanjem je podjetje predlagalo omejitve indikacije na odrasle z zgodnjo Huntingtonovo boleznijo, ki se ne zdravijo z antidopaminergičnimi zdravili. Ta se pogosto uporabljajo pri bolnikih s Huntingtonovo boleznijo za zdravljenje horee (nenadnih in neprosto voljnih gibov) in vedenjskih simptomov (kot je agresivnost).

Zdravilo Nurzigma vsebuje učinkovino pridopidin in naj bi bilo na voljo v obliki trdih kapsul.

Zdravilo Nurzigma je bilo 20. junija 2005 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje Huntingtonove bolezni. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-05-288.

Kako zdravilo Nurzigma deluje?

Učinkovina v zdravilu Nurzigma, pridopidin, aktivira beljakovino, imenovano receptor sigma-1 (S1R). Beljakovina S1R je prisotna v celicah in je vključena v celične procese, ki prispevajo k zdravju in preživetju živčnih celic. Z aktivacijo S1R naj bi pridopidin izboljšal celične procese, ki so povezani s poškodbami živčnih celic in Huntingtonovo boleznijo.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate glavne študije, v katero je bilo vključenih 499 odraslih, starejših od 25 let, z zgodnjo Huntingtonovo boleznijo. Bolniki v študiji so prejeli zdravilo Nurzigma ali 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



(zdravilo brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba ocene skupne funkcionalne zmogljivosti (TFC) po 65 tednih zdravljenja. Z oceno TFC se meri, kako dobro lahko oseba z boleznijo, ki vpliva na živčni sistem, opravlja vsakodnevne naloge in dejavnosti. Podjetje je predstavilo tudi rezultate analiz v podskupini 208 bolnikov iz glavne študije, in sicer odraslih z zgodnjo Huntingtonovo boleznijo, ki niso bili zdravljeni z antidopaminergičnimi zdravili. Poleg tega je predstavilo rezultate treh podpornih študij pri odraslih s Huntingtonovo boleznijo.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Prvotno ocenjevanje je bilo končano julija 2025, ko je Evropska agencija za zdravila priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet. Podjetje je zahtevalo ponovno proučitev priporočila agencije, vendar je vlogo umaknilo, preden je bila ponovna presoja zaključena.

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom?

Agencija je v času prvotnega ocenjevanja menila, da glavna študija in podporne študije niso zagotovile dokazov, da je zdravilo Nurzigma učinkovito pri bolnikih z zgodnjo Huntingtonovo boleznijo. Ugotovila je tudi, da veljavnost in ustreznost rezultatov analiz v podskupini bolnikov (odraslih z zgodnjo Huntingtonovo boleznijo, ki niso bili zdravljeni z antidopaminergičnimi zdravili) iz glavne študije nista bili dokazani.

Zato je menila, da učinkovitost zdravila Nurzigma ni bila dokazana. Podjetje je zaprosilo za pogojno dovoljenje za promet, vendar zdravilo ni izpolnjevalo meril za izdajo te vrste dovoljenja. Zato je agencija priporočila zavrnitev izdaje pogojnega dovoljenja za promet.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da mora zbrati dodatne klinične podatke, da bi lahko v celoti odgovorilo vprašanja, ki jih je zastavil Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je agencijo obvestilo, da zavrnitev nima posledic za bolnike, ki so vključeni v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe zdravila Nurzigma.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.