



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 януари 2025 г.  
EMA/33759/2025  
EMA/H/C/006270

## Оттегляне на заявлението за разрешение за употреба на Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Nugalviq за лечение на класическа галактоземия — състояние, при което организмът не може да разгражда захар, наречена галактоза.

Фирмата оттегля заявлението си на 10 декември 2024 г.

### Какво представлява Nugalviq и за какво е предназначен да се използва?

Nugalviq е разработен като лекарство за употреба при възрастни и деца на възраст 2 и повече години с потвърдена диагноза класическа галактоземия (известна също като дефицит на галактозо-1-фосфат уридил трансфераза). Лекарството е трябвало да се използва в допълнение към хранителен режим с ограничен прием на галактоза.

Nugalviq съдържа активното вещество говорестат (*govorestat*) и е трябвало да се предлага под формата на течна суспензия за прием през устата.

Nugalviq е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което си използва при редки болести) на 21 юни 2022 г. за галактоземия. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### Как действа Nugalviq?

Галактозата е вид захар, която се съдържа в някои храни и също се произвежда от организма. Хората с класическа галактоземия не могат да разграждат правилно галактозата, поради което тя се натрупва в организма. Ензимът, наречен алдоза редуктаза, превръща излишната галактоза във вещество, наречено галактитол, което е вредно за организма, причинява проблеми с развитието и уврежда някои органи. Очаква се активното вещество в Nugalviq да блокира действието на алдоза редуктазата, като по този начин се намали образуването на галактитол. Очаква се Nugalviq да подобри симптомите при хора с класическа галактоземия.

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?**

Основното проучване, представено от фирмата, включва данни за 47 деца на възраст 2 години и повече с класическа галактоземия. В проучването се сравнява Nugalviq с плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност е комбинирано измерване на промяната в речевите и езиковите умения, поведението и способността за изпълняване на ежедневните дейности. В допълнение фирмата е представила подкрепящи данни от проучване, обхващащо 33 възрастни, в което се измерва промяната в нивата на галактитол, както и данни от дългосрочно проследяване на 7 възрастни.

## **На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?**

Заявлението е оттеглено, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила първоначалната информация, представена от фирмата, и е изготвила списък с въпроси. Към момента на оттеглянето Агенцията е в процес на оценяване на представените от фирмата отговори на въпросите.

## **Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?**

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по въпросите на Агенцията, към момента на оттеглянето Агенцията има известни опасения и изразява предварителното становище, че Nugalviq не може да бъде одобрен за лечение на класическа галактоземия.

Агенцията има редица опасения относно резултатите от основното проучване, както и относно това как е проведено проучването и как са събрани и обработени данните. Освен това Агенцията счита, че проучването може да се разглежда само като експериментално, тъй като в проекта му са внесени промени на по-късен етап. Също така няма достатъчно информация за това как лекарството реагира в организма и как би се повлияло от храната, нито е изследван по подходящ начин потенциалният риск от рак. Освен това има въпроси относно предложената схема на дозиране и относно качеството на самото лекарство.

Тъй като фирмата иска разрешение за употреба под условие, Агенцията отбелязва, че изискванията за такова разрешение не са изпълнени.

Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че резултатите от проучването не са надеждни, и заключи, че лекарството не може да бъде разрешено за употреба въз основа на представените данни.

## **Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?**

В [писмото](#) с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че фирмата се нуждае от повече време, за да събере допълнителни данни в подкрепа на оценката на Nugalviq за предложеното показание.

## **Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?**

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел с Nugalviq.

Ако участвате в клинично изпитване или в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.