



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. ledna 2025  
EMA/33759/2025  
EMA/H/C/006270

## Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Nugalviq (*govorestat*)

Společnost Advanz Pharma Limited stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Nugalviq určeného k léčbě klasické galaktosemie, což je onemocnění, při kterém tělo nedokáže štěpit cukr zvaný galaktóza.

Společnost svou žádost stáhla dne 10. prosince 2024.

### Co je přípravek Nugalviq a k čemu měl být používán?

Přípravek Nugalviq byl vyvinut jako léčivý přípravek k použití u dospělých a dětí ve věku od 2 let s potvrzenou diagnózou klasické galaktosemie (známé také jako deficit galaktóza-1-fosfát uridytransferázy). Tento léčivý přípravek měl být používán jako doplněk diety s omezením galaktózy.

Přípravek Nugalviq obsahuje léčivou látku govorestat a měl být dostupný ve formě tekuté suspenze k užití ústy.

Přípravek Nugalviq byl označen dne 21. června 2022 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ k léčbě galaktosemie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### Jak přípravek Nugalviq působí?

Galaktóza je druh cukru, který se vyskytuje v některých potravinách a také je vytvářen v těle. Lidé s klasickou galaktosemií nejsou schopni správně odbourávat galaktózu, což vede k jejímu hromadění v těle. Enzym zvaný aldóza reduktáza přeměňuje tuto nadbytečnou galaktózu na látku zvanou galaktitol, která je pro tělo škodlivá a způsobuje problémy s vývojem a poškození některých orgánů. Očekávalo se, že léčivá látka v přípravku Nugalviq bude blokovat působení aldózy reduktázy a snižovat tak tvorbu galaktitolu. Podle očekávání měl přípravek Nugalviq zlepšovat příznaky u osob s klasickou galaktosemií.

---

**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



## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Hlavní studie předložená společností zahrnovala údaje od 47 dětí ve věku od 2 let s klasickou galaktosemií. Tato studie porovnávala přípravek Nugalviq s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti bylo kombinované měření změny řečových a jazykových dovedností, chování a schopnosti vykonávat každodenní činnosti. Kromě toho společnost předložila podpůrné údaje ze studie, do které bylo zařazeno 33 dospělých a která měřila změnu hladiny galaktitolu, a dále údaje o dlouhodobém sledování 7 dospělých.

## **V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?**

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracovala otázky pro společnost. V době stažení žádosti posuzovala agentura odpovědi společnosti na tyto otázky.

## **Jaké bylo doporučení agentury v dané době?**

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Nugalviq nemůže být schválen k léčbě klasické galaktosemie.

Agentura vyjádřila řadu obav ohledně výsledků hlavní studie, jakož i ohledně toho, jak byla studie provedena a jak byly údaje shromážděny a zpracovány. Agentura dále usoudila, že studii lze vzhledem k pozdním změnám jejího návrhu považovat pouze za průzkumnou. Rovněž nebyl k dispozici dostatek informací o tom, jak se léčivý přípravek chová v těle a jak by byl ovlivněn jídlem, ani nebylo náležitě zkoumáno možné riziko přispění ke vzniku nádorového onemocnění. Navíc se objevily otázky týkající se navrhovaného dávkování a kvality léčivého přípravku samotného.

Jelikož společnost usilovala o udělení podmíněné registrace, agentura konstatovala, že požadavky pro udělení takovéto registrace nebyly splněny.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že výsledky studie nejsou spolehlivé, a dospěla k závěru, že na základě předložených údajů nelze přípravek registrovat.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že potřebuje více času na shromáždění dalších údajů na podporu posouzení přípravku Nugalviq v navrhované indikaci.

## **Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Nugalviq podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií nebo do programů, v nichž je látka govorestat podávána v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je govorestat podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.