



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Nugalviq til behandling af klassisk galaktosæmi, som er en tilstand, hvor kroppen ikke kan nedbryde et sukkerstof kaldet galaktose.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 10. december 2024.

Hvad er Nugalviq, og hvad forventedes det anvendt til?

Nugalviq blev udviklet som et lægemiddel til voksne og børn på 2 år og derover med en bekræftet diagnose af klassisk galaktosæmi (også kaldet galaktose-1-phosphat-uridyltransferase-mangel). Lægemidlet skulle anvendes som supplement til en galaktosefattig kost.

Nugalviq indeholder det aktive stof govorestat og skulle markedsføres som en flydende suspension til indtagelse gennem munden.

Nugalviq blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til behandling af galaktosæmi den 21. juni 2022. Yderligere information om udpegelsen som lægemiddel til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Hvordan virker Nugalviq?

Galaktose er en type sukker, der findes i visse fødevarer, og som også produceres af kroppen. Personer med klassisk galaktosæmi kan ikke nedbryde galaktose ordentligt, hvilket får den til at hobe sig op i kroppen. Et enzym kaldet aldose-reduktase omdanner dette overskud af galaktose til et stof kaldet galaktitol, som er skadeligt for kroppen og medfører udviklingsproblemer og beskadiger visse organer. Det aktive stof i Nugalviq forventedes at blokere aktiviteten af aldose-reduktase og dermed reducere dannelsen af galaktitol. Nugalviq forventedes at forbedre symptomerne hos personer med klassisk galaktosæmi.

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



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Hovedstudiet, som virksomheden havde forelagt, omfattede data fra 47 børn i alderen 2 år og derover med klassisk galaktosæmi. I studiet blev Nugalviq sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling). Det primære mål for virkningen var en kombineret måling af ændringer i tale- og sprogfærdigheder, adfærd og evne til at udføre daglige aktiviteter. Desuden fremlagde virksomheden understøttende data fra et studie med 33 voksne, hvor der blev målt en ændring i niveauet af galaktitol, samt data om langtidsopfølgning af 7 voksne.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den information, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Agenturet var i gang med at vurdere virksomhedens svar på spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Nugalviq ikke kunne være blevet godkendt til behandling af galaktosæmi.

Agenturet havde forskellige betænkeligheder med hensyn til resultaterne af hovedstudiet, hvordan studiet var blevet udført, og hvordan dataene var blevet indsamlet og behandlet. Agenturet fandt endvidere, at studiet kun kunne betragtes som eksplorativt på grund af sene ændringer i dets udformning. Der var heller ikke tilstrækkelige oplysninger om, hvordan lægemidlet opfører sig i kroppen, og hvordan det ville blive påvirket af fødevarer, og der blev heller ikke taget tilstrækkeligt hensyn til dets potentielle kræftisiko. Derudover var der spørgsmål omkring den foreslåede dosering og om kvaliteten af selve lægemidlet.

Da virksomheden ansøgte om en betinget markedsføringstilladelse, bemærkede agenturet, at kravene til denne godkendelse ikke var opfyldt.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at resultaterne af studiet ikke var pålidelige og konkluderede, at lægemidlet ikke kunne være blevet godkendt på baggrund af de fremlagte data.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den havde brug for mere tid til at indsamle yderligere data til støtte for vurderingen af Nugalviq i den foreslåede indikation.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til agenturet meddelt, at der ingen konsekvenser er for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med govorestat eller i programmer for anvendelse af govorestat med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.