



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen für Nugalviq (*Govorestat*)

Advanz Pharma Limited hat seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Nugalviq zur Behandlung der klassischen Galaktosämie, einer Erkrankung, bei der der Körper einen als Galaktose bezeichneten Zucker nicht abbauen kann, zurückgenommen.

Das Unternehmen nahm den Antrag am 10. Dezember 2024 zurück.

Was ist Nugalviq und wofür sollte es angewendet werden?

Nugalviq wurde als Arzneimittel zur Anwendung bei Erwachsenen und Kindern ab 2 Jahren mit bestätigter Diagnose einer klassischen Galaktosämie (auch bekannt als Galaktose-1-Phosphat-Uridyltransferase-Mangel) entwickelt. Das Arzneimittel sollte zusätzlich zu einer galaktosereduzierten Ernährung angewendet werden.

Nugalviq enthält den Wirkstoff Govorestat und sollte als flüssige Suspension zum Einnehmen erhältlich sein.

Nugalviq wurde am 21. Juni 2022 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen Galaktosämie ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Wie wirkt Nugalviq?

Galaktose ist eine Zuckerart, die in bestimmten Nahrungsmitteln vorkommt und ebenfalls vom Körper gebildet wird. Bei klassischer Galaktosämie kann Galaktose nicht richtig abgebaut werden, sodass es sich im Körper ansammelt. Ein Enzym namens Aldosereduktase wandelt diese überschüssige Galaktose in eine Substanz namens Galaktitol um, die schädlich für den Körper ist und Probleme bei der Entwicklung und Schäden bestimmter Organe verursacht. Es wurde davon ausgegangen, dass der Wirkstoff in Nugalviq die Aktivität der Aldosereduktase hemmt und dadurch die Bildung von Galaktitol vermindert. Nugalviq sollte die Symptome von klassischer Galaktosämie lindern.

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



Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Die vom Unternehmen vorgelegte Hauptstudie umfasste Daten von 47 Kindern ab 2 Jahren mit klassischer Galaktosämie. In der Studie wurde Nugalviq mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war eine kombinierte Messung der Veränderungen bei den Sprech- und Sprachfähigkeiten, dem Verhalten und der Fähigkeit, tägliche Aktivitäten durchzuführen. Darüber hinaus legte das Unternehmen unterstützende Daten aus einer Studie mit 33 Erwachsenen vor, in der eine Veränderung der Galaktitolspiegel gemessen wurde, sowie Daten über die langfristige Nachbeobachtung von 7 Erwachsenen.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die anfänglich von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen formuliert hatte. Zum Zeitpunkt der Rücknahme wertete die Agentur die Antworten des Unternehmens auf die Fragen aus.

Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Daten und der Antwort des Unternehmens auf die Fragen der Agentur bestanden seitens der Agentur zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken. Diese war der vorläufigen Ansicht, dass Nugalviq für die Behandlung der klassischen Galaktosämie nicht hätte zugelassen werden können.

Die Agentur hatte eine Reihe von Bedenken hinsichtlich der Ergebnisse der Hauptstudie sowie der Art und Weise, wie die Studie durchgeführt wurde und die Daten erhoben und verarbeitet wurden. Die Agentur war ferner der Auffassung, dass die Studie aufgrund späterer Änderungen des Studiendesigns nur als explorativ angesehen werden kann. Außerdem lagen weder genügend Informationen darüber vor, wie sich das Arzneimittel im Körper verhält und wie es von Nahrungsmitteln beeinflusst würde, noch wurde sein potenzielles Krebsrisiko angemessen berücksichtigt. Darüber hinaus gab es Fragen zur vorgeschlagenen Dosierung und zur Qualität des Arzneimittels selbst.

Da das Unternehmen eine Zulassung unter „Besonderen Bedingungen“ beantragte, stellte die Agentur fest, dass die Anforderungen für eine solche Zulassung nicht erfüllt waren.

Zum Zeitpunkt der Rücknahme war die Agentur daher der Ansicht, dass die Ergebnisse der Studie nicht zuverlässig waren, und sie gelangte zu dem Schluss, dass das Arzneimittel auf der Grundlage der vorgelegten Daten nicht hätte zugelassen werden können.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem [Schreiben](#), in dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, erklärte es, dass es mehr Zeit für die Erhebung weiterer Daten benötige, um die Beurteilung von Nugalviq in der vorgeschlagenen Indikation zu unterstützen.

Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen mit Nugalviq teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.