



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 Ιανουαρίου 2025  
EMA/33759/2025  
EMEA/H/C/006270

## Απόσυρση της αίτησης για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Nugalviiq (*govorestat*)

Η Advanz Pharma Limited απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Nugalviiq, για τη θεραπεία της κλασικής γαλακτοζαιμίας, μιας πάθησης κατά την οποία ο οργανισμός δεν μπορεί να διασπάσει ένα σάκχαρο που ονομάζεται γαλακτόζη.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 10 Δεκεμβρίου 2024.

### **Τι είναι το Nugalviiq και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;**

Το Nugalviiq αναπτύχθηκε ως φάρμακο για χρήση σε ενήλικες και παιδιά ηλικίας 2 ετών και άνω με επιβεβαιωμένη διάγνωση κλασικής γαλακτοζαιμίας (γνωστής και ως «ανεπάρκεια ουριδυλο-τρανσφεράσης της 1- φωσφορικής γαλακτόζης»). Το φάρμακο επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε συνδυασμό με δίαιτα περιορισμού της γαλακτόζης.

Το Nugalviiq περιέχει τη δραστική ουσία govorestat και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή υγρού εναιωρήματος για χορήγηση από το στόμα.

Το Nugalviiq χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 21 Ιουνίου 2022 για τη θεραπεία της γαλακτοζαιμίας. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### **Πώς δρα το Nugalviiq;**

Η γαλακτόζη είναι ένας τύπος σακχάρου που απαντάται σε ορισμένα τρόφιμα. Γαλακτόζη συνθέτει επίσης και ο οργανισμός. Τα άτομα με κλασική γαλακτοζαιμία δεν μπορούν να διασπάσουν σωστά τη γαλακτόζη, προκαλώντας τη συσσώρευσή της στον οργανισμό τους. Ένα ένζυμο που ονομάζεται αλδόζη ρεδουκτάση μετατρέπει αυτή την περίσσεια γαλακτόζης σε μια ουσία που ονομάζεται γαλακτιτόλη. Η ουσία αυτή είναι επιβλαβής για τον οργανισμό και προκαλεί προβλήματα ανάπτυξης και βλάβες σε ορισμένα όργανα. Αναμενόταν ότι η δραστική ουσία του Nugalviiq θα ανέστelle τη δραστηριότητα της αλδόζης ρεδουκτάσης, μειώνοντας κατ' αυτόν τον τρόπο τον σχηματισμό της γαλακτιτόλης. Το Nugalviiq επρόκειτο να βελτιώσει τα συμπτώματα της κλασικής γαλακτοζαιμίας.

**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



## **Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;**

Η κύρια μελέτη που υπέβαλε η εταιρεία περιλάμβανε δεδομένα 47 παιδιών ηλικίας 2 ετών και άνω που έπασχαν από κλασική γαλακτοζαιμία. Στη μελέτη το Nugalvii συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η συνδυασμένη μέτρηση των αλλαγών στην ομιλία, στις γλωσσικές δεξιότητες, στη συμπεριφορά και στην ικανότητα εκτέλεσης καθημερινών δραστηριοτήτων. Επιπλέον, η εταιρεία υπέβαλε υποστηρικτικά δεδομένα από μια μελέτη στην οποία μετείχαν 33 ενήλικες και στο πλαίσιο της οποίας μετρήθηκε η μεταβολή των επιπέδων της γαλακτιτόλης. Η εταιρεία προσκόμισε επίσης δεδομένα από τη μακροχρόνια παρακολούθηση 7 ενηλίκων.

## **Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;**

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε αξιολογήσει τις αρχικές πληροφορίες που είχαν υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Κατά τη στιγμή της απόσυρσης της αίτησης, ο Οργανισμός βρισκόταν στο στάδιο αξιολόγησης των απαντήσεων της εταιρείας.

## **Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;**

Με βάση την εξέταση των δεδομένων και την απάντηση της εταιρείας στις ερωτήσεις του Οργανισμού, κατά τον χρόνο της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και η προσωρινή γνώμη του ήταν ότι το Nugalvii δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της κλασικής γαλακτοζαιμίας.

Ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες σχετικά με τα αποτελέσματα της κύριας μελέτης, καθώς και σχετικά με τον τρόπο διεξαγωγής της μελέτης και τον τρόπο συλλογής και επεξεργασίας των δεδομένων. Ο Οργανισμός έκρινε επίσης ότι η μελέτη μπορούσε να θεωρηθεί μόνο αναγνωριστική, λόγω των καθυστερημένων αλλαγών στον σχεδιασμό της. Επίσης, δεν υπήρχαν επαρκείς πληροφορίες σχετικά με τον τρόπο με τον οποίο το φάρμακο συμπεριφέρεται στον οργανισμό και τον τρόπο με τον οποίο το φάρμακο επηρεάζεται από την τροφή, ούτε σχετικά με τον δυνητικό κίνδυνο εμφάνισης καρκίνου. Επιπλέον, υπήρξαν ερωτήσεις σχετικά με την προτεινόμενη δοσολογία και σχετικά με την ποιότητα του ίδιου του φαρμάκου.

Δεδομένου ότι η εταιρεία ζήτησε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους, ο Οργανισμός επισήμανε ότι δεν πληρούνταν οι απαιτήσεις για τη χορήγηση της εν λόγω άδειας.

Ως εκ τούτου, κατά τον χρόνο της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι τα αποτελέσματα της μελέτης δεν ήταν αξιόπιστα και κατέληξε στο συμπέρασμα ότι το φάρμακο δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί με βάση τα υποβληθέντα δεδομένα.

## **Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;**

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι χρειαζόταν περισσότερο χρόνο για να συλλέξει περαιτέρω δεδομένα προς υποστήριξη της αξιολόγησης του Nugalvii για την προτεινόμενη ένδειξη.

## **Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;**

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που μετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης για τη gonovostat.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.