



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 de enero de 2025
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited retiró su solicitud de autorización de comercialización de Nugalviq para el tratamiento de la galactosemia clásica, una enfermedad en la que el organismo no puede descomponer un azúcar llamado galactosa.

La empresa retiró la solicitud el 10 de diciembre de 2024.

¿Qué es Nugalviq y a qué uso estaba destinado?

Nugalviq se desarrolló como medicamento para su uso en adultos y niños de 2 años o más con un diagnóstico confirmado de galactosemia clásica (también conocida como deficiencia de galactosa 1-fosfato uridililtransferasa). El medicamento iba a utilizarse junto con una dieta restringida en galactosa.

Nugalviq contiene el principio activo govorestat e iba a presentarse en forma de suspensión líquida para tomar por vía oral.

Nugalviq fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 21 de junio de 2022 para la galactosemia. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

¿Cómo actúa Nugalviq?

La galactosa es un tipo de azúcar que se encuentra en determinados alimentos y que también lo produce el organismo. Las personas con galactosemia clásica no pueden degradar adecuadamente la galactosa, lo que hace que esta se acumule en el organismo. Una enzima llamada aldosa reductasa convierte este exceso de galactosa en una sustancia llamada galactitol, que es perjudicial para el organismo y causa problemas de desarrollo y daños en determinados órganos. Se esperaba que el principio activo de Nugalviq bloqueara la actividad de la aldosa reductasa, reduciendo así la formación de galactitol. Se esperaba que Nugalviq mejorara los síntomas en las personas con galactosemia clásica.

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



¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

El estudio principal presentado por la empresa incluía datos de 47 niños de 2 años o más con galactosemia clásica. En el estudio se comparó Nugalviq con un placebo (un tratamiento ficticio). El principal criterio de valoración de la eficacia fue una medición combinada del cambio en las habilidades del habla y el lenguaje, el comportamiento y la capacidad para llevar a cabo las actividades cotidianas. Además, la empresa presentó datos de apoyo de un estudio en el que participaron 33 adultos que medía un cambio en los niveles de galactitol, así como datos sobre el seguimiento a largo plazo de 7 adultos.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiese evaluado la información inicial presentada por la empresa y formulado una serie de preguntas. La Agencia estaba evaluando las respuestas de la empresa a las preguntas en el momento de la retirada.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a la lista de preguntas de la Agencia, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Nugalviq no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la galactosemia clásica.

La Agencia tenía una serie de reservas sobre los resultados del estudio principal, así como sobre cómo se llevó a cabo el estudio y cómo se habían recogido y tratado los datos. Además, la Agencia consideró que el estudio solo podía considerarse exploratorio debido a los cambios tardíos en su diseño. Tampoco se disponía de información suficiente sobre cómo se comporta el medicamento en el organismo y cómo se vería afectado por los alimentos, ni tampoco se abordó adecuadamente su posible riesgo de cáncer. Además, se plantearon preguntas sobre la dosis propuesta y sobre la calidad del medicamento en sí.

Dado que la empresa había solicitado una autorización de comercialización condicional, la Agencia señaló que no se cumplían los requisitos para dicha autorización.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que los resultados del estudio no eran fiables y concluía que el medicamento no hubiera podido aprobarse sobre la base de los datos presentados.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que necesitaba más tiempo para recopilar más datos que respaldaran la evaluación de Nugalviq en la indicación propuesta.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que actualmente participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con govorestat.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa más información acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico a cargo del ensayo clínico.