



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Nugalviq (govorestaat)

Advanz Pharma Limited võttis tagasi ravimi Nugalviq müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud klassikalise galaktoseemia raviks. See on seisund, mille korral organism ei suuda lagundada teatud suhkrut, mida nimetatakse galaktoosiks.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 10. detsembril 2024.

### Mis on Nugalviq ja milleks kavatseti seda kasutada?

Nugalviq töötati välja ravimina kasutamiseks täiskasvanutel ja vähemalt 2-aastastel lastel, kellel on kinnitatud diagnoositud klassikaline galaktoseemia (galaktoos-1-fosfaadi uridülültransferaasi vaegus). Ravimit kavatseti kasutada lisaks piiratud galaktoosisaldusega dieedile.

Nugalviq sisaldab toimeainet govorestaati ja seda kavatseti turustada suukaudse vedelsuspensioonina.

Nugalviq nimetati 21. juunil 2022 galaktoseemia harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### Kuidas Nugalviq toimib?

Galaktoos on suhkur, mida leidub teatud toiduainetes ja mida toodab ka organism. Klassikalise galaktoseemiaga inimestel ei suuda organism galaktoosi normaalselt lagundada, mis põhjustab selle kogunemist organismis. Teatud ensüüm, aldoosi reduktaas muundab liigse galaktoosi galaktitooliks, mis on organismile kahjulik ning põhjustab teatud elundite arenguprobleeme ja kahjustusi. Eeldati, et Nugalviqi toimeaine blokeerib aldoosi reduktaasi aktiivsuse, mis vähendab galaktitooli teket. Eeldati, et Nugalviq parandab klassikalise galaktoseemiaga inimestel sümptomeid.

---

**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



## **Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?**

Ettevõtte esitatud põhiuuringus osales 47 vähemalt 2-aastast last, kellel oli klassikaline galaktoseemia. Uuringus võrreldi Nugalviqit platseeboga (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli kõne- ja keeleoskuse, käitumise ning igapäevaste tegevuste sooritamise võime muutuste kombineeritud mõõtmine. Lisaks esitas ettevõtte toetavaid andmeid uuringust, milles osales 33 täiskasvanut ja milles mõõdeti galaktiitoolisisalduse muutust, ning 7 täiskasvanu pikaajalise järelkontrolli andmed.

## **Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?**

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Raviamet oli hinnanud ettevõtte esialgselt esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Taotluse tagasivõtmise ajal hindas amet ettevõtte vastuseid neile küsimustele.

## **Mis oli sel ajal Euroopa Raviameti soovitus?**

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele ameti esitatud küsimustele, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Nugalviqi kasutamist klassikalise galaktoseemia raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Ametil oli mitu kahtlust seoses põhiuuringu tulemuste, uuringu läbiviimise ning andmete kogumise ja töötlemisega. Lisaks leidis amet, et uuringut saab pidada üksnes ettevalmistavaks, sest selle ülesehitust muudeti hiljem. Samuti ei olnud piisavalt teavet, kuidas ravim organismis käitub ja kuidas seda mõjutab toit, samuti ei käsitletud piisavalt ravimi võimalikku vähiriski. Lisaks tekkis küsimusi kavandatud annuste ja ravimi enda kvaliteedi kohta.

Et ettevõtte taotles müügiluba tingimusliku heakskiidu alusel, märkis amet, et sellise müügiloa andmise tingimused ei ole täidetud.

Seetõttu oli inimravimite komitee müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et uuringu tulemused ei ole usaldusväärsed, ning järeldas, et ettevõtte esitatud andmete alusel ei saa ravimit heaks kiita.

## **Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?**

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Raviametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et tal on vaja rohkem aega täiendavate andmete kogumiseks, et toetada Nugalviqi hindamist kavandatud näidustusel.

## **Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?**

Ettevõtte teatas ametile, et tagasivõtmine ei mõjuta govorestaadi kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge kliinilise uuringu arsti poole.