



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nugalviqia (*govorestaatti*) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Advanz Pharma Limited peruutti klassisen galaktosemian hoitoon tarkoitettua Nugalviq-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Klassinen galaktosemia on sairaus, jossa elimistö ei pysty hajottamaan galaktoosi-nimistä sokeria.

Yhtiö peruutti hakemuksen 10. joulukuuta 2024.

Mitä Nugalviq on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Nugalviq kehitettiin lääkkeeksi, jota oli tarkoitus käyttää aikuisilla ja vähintään 2-vuotiailla lapsilla, joilla on diagnosoitu klassinen galaktosemia (galaktoosi-1-fosfaatti-uridylyylitransferaasin puutos). Lääkevalmistetta oli tarkoitus käyttää galaktoosi-rajoitetun ruokavalion lisänä.

Nugalviqin vaikuttava aine on govorestaatti, ja sitä oli määrä olla saatavana suun kautta otettavana nestemäisenä suspensiona.

Nugalviq nimettiin 21. kesäkuuta 2022 ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) galaktosemian hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Miten Nugalviq vaikuttaa?

Galaktoosi on tiettytyyppinen sokeri, jota esiintyy tietyissä elintarvikkeissa ja jota myös elimistö tuottaa. Klassista galaktosemiaa sairastavilla potilailla galaktoosi ei hajoa kunnolla ja sitä kerääntyy elimistöön. Aldoosireduktaasi-niminen entsyymi muuntaa tämän ylimääräisen galaktoosin galaktitoliksi kutsutuksi aineeksi, joka on haitallista elimistölle ja aiheuttaa kehitysongelmia ja tiettyjen elinten vaurioitumista. Nugalviqin vaikuttavan aineen odotettiin estävän aldoosireduktaasin toimintaa ja vähentävän siten galaktitolin muodostumista. Nugalviqin odotettiin lievittävän oireita henkilöillä, joilla on klassinen galaktosemia.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiön toimittama päätutkimus sisälsi tietoja 47:stä vähintään 2-vuotiaasta lapsesta, jotka sairastivat klassista galaktosemiaa. Nugalviqia verrattiin tutkimuksessa lumelääkkeeseen. Tehon pääasiallisena mittana olivat samaan aikaan mitatut muutokset puheessa ja kielellisissä taidoissa, käyttäytymisessä ja kyvyssä suorittaa päivittäisiä toimia. Lisäksi yritys toimitti tukitietoja tutkimuksesta, johon osallistui 33 aikuista ja jossa mitattiin galaktitolipitoisuuden muutosta, sekä tietoja seitsemän aikuisen pitkäaikaisesta seurannasta.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittamat tiedot ja laatinut yhtiölle luettelon kysymyksistä. Virasto oli arvioimassa yhtiön vastauksia kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluettelon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Nugalviqia ei olisi voitu hyväksyä klassisen galaktosemian hoitoon.

Virastolla oli useita huolenaiheita päätutkimuksen tuloksista, sekä tutkimuksen toteuttamistavasta ja tietojen keräämis- ja käsittelytavasta. Virasto katsoi lisäksi, että tutkimusta voitiin pitää vain eksploratiivisena, koska sen suunnitelmaan oli tehty muutoksia myöhäisessä vaiheessa. Ei myöskään ollut riittävästi tietoa siitä, miten lääke käyttäytyy elimistössä ja miten ruoka vaikuttaa sen toimintaan, eikä sen mahdollista syöpäriskiä käsitelty asianmukaisesti. Lisäksi ehdotetusta annostuksesta ja itse lääkkeen laadusta oli avoimia kysymyksiä.

Yhtiö haki ehdollista myyntilupaa. Virasto kuitenkin katsoi, etteivät tällaisen myyntiluvan ehdot täytyneet.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että tutkimuksen tulokset eivät olleet luotettavia ja ettei lääkevalmisteelle olisi voitu myöntää myyntilupaa toimitettujen tietojen perusteella.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa tarvitsevänsä lisää aikaa kerätäkseen lisätietoja, jotka tukisivat Nugalviqin arviointia ehdotetussa käyttöaiheessa.

Vaikuttaako hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat govorestaattia koskeviin klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

Jos olet mukana klinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä klinisen tutkimuksen lääkäriin.