



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 janvier 2025
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché de Nugalviq pour le traitement de la galactosémie classique, maladie dans laquelle l'organisme n'arrive pas à décomposer un type de sucre appelé galactose.

La société a retiré sa demande le 10 décembre 2024.

Qu'est-ce que Nugalviq et dans quel cas devait-il être utilisé?

Nugalviq a été développé en tant que médicament destiné à être utilisé chez les adultes et les enfants âgés de 2 ans et plus présentant un diagnostic confirmé de galactosémie classique (également connue sous le nom de déficit en galactose-1-phosphate uridylyltransférase). Le médicament devait être utilisé en complément d'un régime hypogalactosique.

Nugalviq contient la substance active govorestat et devait être disponible sous la forme d'une suspension liquide à prendre par voie orale.

Nugalviq a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 21 juin 2022 pour la galactosémie. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Comment Nugalviq agit-il?

Le galactose est un type de sucre présent dans certains aliments et qui est également produit par le corps. Les personnes atteintes de galactosémie classique ne peuvent pas dégrader correctement le galactose, ce qui provoque son accumulation dans l'organisme. Une enzyme appelée aldose réductase transforme cet excès de galactose en une substance appelée galactitol, qui est nocive pour l'organisme et entraîne des problèmes de développement et des dommages à certains organes. La substance active de Nugalviq devait bloquer l'activité de l'aldose réductase, réduisant ainsi la formation de galactitol. Nugalviq devait améliorer les symptômes chez les personnes atteintes de galactosémie classique.

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



Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La principale étude présentée par la société incluait des données provenant de 47 enfants âgés de deux ans et plus atteints de galactosémie classique. L'étude a comparé Nugalviq à un placebo (un traitement fictif). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était une mesure combinée de l'évolution des aptitudes en matière d'élocution et de langage, du comportement et de la capacité à mener des activités quotidiennes. En outre, la société a fourni des données justificatives provenant d'une étude portant sur 33 adultes qui mesurait une variation des niveaux de galactitol, ainsi que des données sur le suivi à long terme de sept adultes.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que l'Agence européenne des médicaments a évalué les informations initiales de la société et préparé des questions à son intention. Au moment du retrait, l'Agence était en train d'évaluer les réponses aux questions apportées par la société.

Quelle était la recommandation de l'Agence à ce stade?

Sur la base de l'examen des données et de la réponse de la société à la liste de questions de l'Agence, au moment du retrait, l'Agence avait des réserves et estimait à ce stade que Nugalviq n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de la galactosémie classique.

L'Agence a exprimé un certain nombre de préoccupations quant aux résultats de l'étude principale, ainsi qu'à la manière dont l'étude a été réalisée et aux modalités de collecte et de traitement des données. L'Agence a en outre estimé que l'étude ne pouvait être considérée que comme exploratoire en raison de modifications tardives de sa conception. Les informations relatives au comportement du médicament dans l'organisme et aux effets éventuels de l'alimentation à cet égard étaient également insuffisantes, et son risque cancérigène potentiel n'a pas non plus été correctement pris en considération. En outre, des questions ont été soulevées concernant la posologie proposée et la qualité du médicament lui-même.

Étant donné que la société demandait une autorisation de mise sur le marché conditionnelle, l'Agence a observé que les conditions d'une telle autorisation n'étaient pas remplies.

Par conséquent, au moment du retrait, l'Agence a estimé que les résultats de l'étude n'étaient pas fiables et a conclu que le médicament n'aurait pas pu être autorisé sur la base des données fournies.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué qu'il lui fallait plus de temps pour recueillir des données supplémentaires à l'appui de l'évaluation de Nugalviq dans l'indication proposée.

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients inclus dans des essais cliniques ou des programmes d'utilisation compassionnelle utilisant Nugalviq.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'usage compassionnel et que vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.