



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Nugalviq (*govorestat*)

Tvrtka Advanz Pharma Limite povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Nugalviq za liječenje klasične galaktozemije, stanja u kojem tijelo ne može razgraditi šećer naziva galaktoza.

Tvrtka je povukla zahtjev 10. prosinca 2024.

### Što je Nugalviq i za što se trebao koristiti?

Lijek Nugalviq razvijen je kao lijek za primjenu u odraslih i djece u dobi od dvije godine i starije s potvrđenom dijagnozom klasične galaktozemije (poznate i kao nedostatak galaktoze-1-fosfat uridililtransferaze). Lijek se trebao primjenjivati uz dijetu s ograničenim unosom galaktoze.

Nugalviq sadrži djelatnu tvar govorestat i trebao je biti dostupan u obliku tekuće suspenzije koja se uzima kroz usta.

Lijek Nugalviq dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 21. lipnja 2022. za liječenje galaktozemije. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### Kako djeluje Nugalviq?

Galaktoza je vrsta šećera koja se nalazi u određenoj hrani, a proizvodi je i tijelo. Osobe s klasičnom galaktozemijom ne mogu pravilno razgraditi galaktozu, zbog čega se ona nakuplja u tijelu. Enzim naziva aldoza reduktaza pretvara taj višak galaktoze u tvar pod nazivom galaktitol, koja je štetna za tijelo i uzrokuje probleme s razvojem i oštećenjem određenih organa. Očekivalo se da će djelatna tvar lijeka Nugalviq blokirati aktivnost aldoze reduktaze, čime će se smanjiti stvaranje galaktitola. Očekivalo se da će lijek Nugalviq poboljšati simptome u osoba s klasičnom galaktozemijom.

---

**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



## Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Glavno ispitivanje koje je dostavila tvrtka uključivalo je podatke o 47 djece u dobi od dvije godine i starije s klasičnom galaktozemijom. U ispitivanju je lijek Nugalviq uspoređen s placebom (prividnim liječenjem). Glavno mjerilo učinkovitosti bilo je kombinirano mjerenje promjene u govornim i jezičnim vještinama, ponašanju i sposobnosti obavljanja svakodnevnih aktivnosti. Osim toga, tvrtka je dostavila popratne podatke iz ispitivanja koje je obuhvatilo 33 odrasle osobe, u kojem je izmjerena promjena u razinama galaktitola, kao i podatke o dugoročnom praćenju sedam odraslih osoba.

## U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Zahtjev je povučen nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila inicijalne informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila popis pitanja za tvrtku. U trenutku povlačenja Agencija je procjenjivala odgovore na pitanja koje je tvrtka dostavila.

## Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?

Na temelju pregleda podataka i odgovora tvrtke na pitanja Agencije, u trenutku povlačenja Agencija je smatrala da postoje određeni razlozi za zabrinutost te je njezino privremeno mišljenje bilo da nije moguće dati odobrenje za lijek Nugalviq za liječenje klasične galaktozemije.

Agencija je imala niz razloga za zabrinutost u pogledu rezultata glavnog ispitivanja, kao i načina na koji je ispitivanje provedeno te kako su podatci prikupljeni i obrađeni. Agencija je također smatrala da bi se ispitivanje moglo smatrati samo kao eksploratorno zbog kasnih izmjena u njegovu dizajnu. Osim toga, nije bilo dovoljno informacija o tome kako se lijek ponaša u tijelu i kako bi hrana utjecala na njega te nije na odgovarajući način obrađen njegov potencijalni rizik od raka. Uz to, postojala su pitanja o predloženom doziranju i kvaliteti samog lijeka.

Budući da je tvrtka tražila uvjetno odobrenje za stavljanje u promet, Agencija je napomenula da nisu ispunjeni zahtjevi za takvo odobrenje.

Stoga je u trenutku povlačenja Agencija smatrala da rezultati ispitivanja nisu pouzdani te je zaključila da lijek nije mogao biti odobren na temelju dostavljenih podataka.

## Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da joj je potrebno više vremena za prikupljanje dodatnih podataka kojima će potkrijepiti procjenu lijeka Nugalviq za predloženu indikaciju.

## Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike uključene u klinička ispitivanja ili programe milosrdnog davanja lijekova u kojima se upotrebljava govorestat.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili programu milosrdnog davanja lijekova te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.