



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## A Nugalviq (govoresztat) forgalombahozatali engedélye iránti kérelem visszavonása

Az Advanz Pharma Limited visszavonta a klasszikus galaktozémia kezelésére szánt Nugalviq-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét. Ez egy olyan betegség, amelyben a szervezet nem tudja lebontani a galaktóz nevű cukrot.

A vállalat 2024. december 10-én visszavonta a kérelmet.

### Milyen típusú gyógyszer a Nugalviq és milyen alkalmazásra szánták?

A Nugalviq-et olyan felnőtteknél és legalább 2 éves gyermekeknél történő alkalmazásra fejlesztették ki, akiknél klasszikus galaktozémia (más néven galaktóz-1-foszfát-uridil-transzferáz hiány) igazolt diagnózisa áll fenn. A gyógyszert a szigorú galaktózmentes étrend kiegészítéseként tervezték alkalmazni.

A Nugalviq hatóanyaga a govoresztat, és szájon át alkalmazandó, folyékony szuszpenzió formájában kívánták forgalomba hozni.

A Nugalviq-et 2022. június 21-én a galaktozémia kezelésére alkalmazott, „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### Hogyan fejti ki hatását a Nugalviq?

A galaktóz egy cukortípus, amely bizonyos élelmiszerekben található meg, és amelyet a szervezet is előállít. A klasszikus galaktozémiában szenvedő betegek nem képesek megfelelően lebontani a galaktózt, aminek következtében az felhalmozódik a testükben. Az aldóz-reduktáz nevű enzim ezt a többlet galaktózt galaktitolnak nevezett anyaggá alakítja át, amely káros a szervezetre nézve, és fejlődési problémákat, valamint bizonyos szervek károsodását okozza. A Nugalviq hatóanyagától azt várták, hogy gátolja az aldóz-reduktáz aktivitását, ezáltal csökkenti a galaktitol képződését. A Nugalviq-tól azt várták, hogy javítja a tüneteket a klasszikus galaktozémiában szenvedő betegeknél.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat által benyújtott fő vizsgálat 47 klasszikus galaktozémiában szenvedő, 2 éves és idősebb gyermek adatait tartalmazta. A vizsgálatban a Nugalviq-ot placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. A hatásosság fő mutatója a beszédben és nyelvi képességekben, valamint a viselkedésben és a napi tevékenységek elvégzésének képességében bekövetkezett változás együttes mérése volt. Emellett a vállalat benyújtott egy 33 felnőtt részvételével végzett vizsgálatból származó alátámasztó adatokat, amelyek a galaktitolszint változását mérték, valamint 7 felnőtt hosszú távú nyomon követésére vonatkozó adatokat.

## **A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?**

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslisztát. Az Ügynökség a visszavonás időpontjában a vállalat által a kérdésekre adott válaszokat értékelte.

## **Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Nugalviq alkalmazása nem engedélyezhető a klasszikus galaktozémiára.

Az Ügynökségnek számos aggály merült fel a fő vizsgálat eredményeivel, valamint a vizsgálat elvégzésének, illetve az adatok gyűjtésének és feldolgozásának módjával kapcsolatban. Az Ügynökség továbbá úgy vélte, hogy a vizsgálatot csak feltáró jellegűnek lehet tekinteni a kialakításában történt késői változások miatt. Nem állt rendelkezésre elegendő információ arról sem, hogy a gyógyszer hogyan viselkedik a szervezetben, és hogyan befolyásolja az étel, valamint a rák potenciális kockázatát nem kezelték megfelelően. Ezenfelül kérdések merültek fel a javasolt adagolással és magának a gyógyszernek a minőségével kapcsolatban.

Mivel a vállalat feltételes forgalombahozatali engedély iránti kérelmet nyújtott be, az Ügynökség megállapította, hogy az ilyen engedélyre vonatkozó követelmények nem teljesültek.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a vizsgálat eredményei nem voltak megbízhatóak, és arra a következtetésre jutott, hogy a benyújtott adatok alapján a gyógyszert nem lehetett volna engedélyezni.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat kijelentette, hogy több időre van szüksége ahhoz, hogy további adatokat gyűjtsön a Nugalviq javasolt javallatban való értékelésének alátámasztására.

## **Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?**

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Nugalviq-kal végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.