



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Nugalviq, per il trattamento della galattosemia classica, una patologia in cui l'organismo non riesce a scomporre uno zucchero denominato galattosio.

La ditta ha ritirato la domanda il 10 dicembre 2024.

Che cos'è Nugalviq e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Nugalviq è stato sviluppato come medicinale da utilizzare negli adulti e nei bambini a partire dai 2 anni di età con una diagnosi confermata di galattosemia classica (nota anche come deficit di galattosio-1-fosfato uridil transferasi). Il medicinale doveva essere usato in aggiunta a una dieta con restrizione dell'assunzione di galattosio.

Nugalviq, contenente il principio attivo govorestat, avrebbe dovuto essere disponibile in sospensione liquida da assumere per via orale.

Nugalviq è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 21 giugno 2022 per la galattosemia. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Come agisce Nugalviq?

Il galattosio è un tipo di zucchero presente in alcuni alimenti e prodotto anche dall'organismo. Le persone con galattosemia classica non sono in grado di scomporre adeguatamente il galattosio, che di conseguenza si accumula nell'organismo. Un enzima chiamato aldoso reduttasi converte questo eccesso di galattosio in una sostanza chiamata galattitolo, che è dannosa per l'organismo e causa problemi di sviluppo e danni ad alcuni organi. Il principio attivo di Nugalviq dovrebbe bloccare l'attività dell'aldoso reduttasi, riducendo così la formazione di galattitolo. Secondo le attese, Nugalviq avrebbe dovuto migliorare i sintomi nelle persone con galattosemia classica.

Official address Domenico Scarlatilaan 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



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Lo studio principale presentato dalla ditta comprendeva dati relativi a 47 bambini di età pari o superiore a 2 anni con galattosemia classica. Lo studio ha confrontato Nugalviq con placebo (trattamento fittizio). La principale misura dell'efficacia era costituita da una misurazione combinata delle variazioni nelle capacità di linguaggio, comunicazione, comportamento e svolgimento delle attività quotidiane. Inoltre, la ditta ha presentato dati di supporto tratti da uno studio su 33 adulti che ha misurato la variazione dei livelli di galattitolo, nonché i dati relativi al follow-up a lungo termine di 7 adulti.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni iniziali fornite dalla ditta e aveva formulato un elenco di domande. Al momento del ritiro l'Agenzia stava esaminando le risposte della ditta alle domande.

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame dei dati e della risposta fornita dalla ditta alle domande dell'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Nugalviq non potesse essere autorizzato per il trattamento della galattosemia classica.

L'Agenzia aveva una serie di preoccupazioni in merito ai risultati dello studio principale, alla sua conduzione e alle modalità di raccolta ed elaborazione dei dati. Inoltre, riteneva che lo studio potesse essere considerato meramente esplorativo a causa di modifiche tardive alla sua progettazione. Vi erano altresì carenze informative sull'azione del medicinale nell'organismo, sulla sua interazione con gli alimenti e sulla valutazione del rischio potenziale di cancerogenicità. Vi erano anche riserve sul dosaggio proposto e sulla qualità del medicinale stesso.

Poiché la ditta chiedeva un'autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni, l'Agenzia ha osservato che i requisiti per tale autorizzazione non erano soddisfatti.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva espresso il parere che i risultati dello studio non erano affidabili e aveva concluso che il medicinale non poteva essere autorizzato sulla base dei dati forniti.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che necessitava di più tempo per raccogliere ulteriori dati a sostegno della valutazione di Nugalviq nell'indicazione proposta.

Il ritiro della domanda ha conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole con govorestat.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.