



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. sausio 31 d.
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

Paraiškos gauti Nugalviq (*govorestato*) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

„Advanz Pharma Limited“ atsiėmė savo paraišką gauti Nugalviq, skirtą klasikinės galaktozemijos – ligos, kuria sergant organizmas negali suskaidyti cukraus, vadinamo galaktoze, – gydymui, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2024 m. gruodžio 10 d.

Kas yra Nugalviq ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Nugalviq buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas suaugusiems pacientams ir vaikams nuo 2 metų, kuriems nustatyta klasikinės galaktozemijos (dar vadinamos galaktozės-1-fosfat-uridiltransferazės trūkumu) diagnozė. Šis vaistas turėjo būti vartojamas kartu taikant galaktozę ribojančią dietą.

Nugalviq sudėtyje yra veikliosios medžiagos govorestato ir jį buvo numatyta tiekti geriamosios skystos suspensijos forma.

2022 m. birželio 21 d. Nugalviq priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal galaktozemijos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Kaip veikia Nugalviq?

Galaktozė yra tam tikros rūšies cukrus, kurio randama tam tikruose maisto produktuose ir kurį taip pat gamina organizmas. Klasikine galaktozemija sergančių žmonių organizmas negali tinkamai suskaidyti galaktozės, todėl ji organizme kaupiasi. Fermentas, vadinamas aldozės reduktaze, paverčia šią perteklinę galaktozę medžiaga, vadinama galaktitolium, kuri kenkia organizmui, sukelia vystymosi problemų ir pažeidžia tam tikrus organus. Buvo tikimasi, kad Nugalviq veiklioji medžiaga slopins aldozės redukazės veikimą, todėl susidarys mažiau galaktitolio. Buvo tikimasi, kad Nugalviq padės palengvinti klasikine galaktozemija sergantiems žmonėms pasireiškiančius simptomus.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindiniame tyrime dalyvavusių 47 vaikų nuo 2 metų, sergančių klasikine galaktozemia, duomenis. Tyrime Nugalvių buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo bendras kalbėjimo ir kalbos įgūdžių, elgesio ir gebėjimo atlikti kasdienę veiklą pokyčių vertinimas. Be to, bendrovė pateikė tyrimo, kuriame dalyvavo 33 suaugusieji, patvirtinamuosius duomenis, kuriais buvo matuojamas galaktitolio koncentracijos pokytis, taip pat 7 suaugusiųjų ilgalaikio stebėjimo duomenis.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra buvo įvertinusi bendrovės pateiktą pirminę informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Paraiškos atsiėmimo metu Agentūra vertino bendrovės pateiktus atsakymus į klausimus.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėtais duomenimis ir bendrovės atsakymais į Agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Nugalvių negali būti registruojamas klasikinės galaktozemos gydymui.

Agentūra turėjo įvairių abejonių dėl pagrindinio tyrimo rezultatų, taip pat dėl to, kaip buvo atliktas tyrimas ir kaip buvo renkami ir tvarkomi duomenys. Agentūra taip pat laikėsi nuomonės, kad šį tyrimą dėl vėlyvų jo modelio pakeitimų galima vertinti tik kaip žvalgomąjį. Be to, nepakako informacijos apie tai, kaip vaistas veikia organizme ir kokį poveikį jam turėtų maistas, nepateikta pakankamai informacijos apie galimą vėžio riziką. Be to, kilo klausimų dėl siūlomo dozavimo ir paties vaisto kokybės.

Kadangi bendrovė siekė gauti sąlyginį registracijos pažymėjimą, Agentūra atkreipė dėmesį, kad tokiam registracijos pažymėjimui taikomi reikalavimai nėra tenkinami.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad šio tyrimo rezultatai nepatikimi ir padarė išvadą, kad remiantis pateiktais duomenimis šio vaisto registruoti negalima.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad jai reikia daugiau laiko papildomiems duomenims surinkti, kad būtų galima pagrįsti pagal pasiūlytą indikaciją vartojamo Nugalvių vertinimą.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad tai neturės jokių pasekmių klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose dalyvaujantiems govorestatą vartojantiems pacientams.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.