



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. gada 31. janvāris
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

Nugalviq (govorestats) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Advanz Pharma Limited atsauca zāļu *Nugalviq* reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles izmanto klasiskās galaktozēmijas ārstēšanai, kas ir slimība, kuras gadījumā organisms nespēj noārdīt cukuru, ko dēvē par galaktozi.

Uzņēmums pieteikumu atsauca 2024. gada 10. decembrī.

Kas ir *Nugalviq*, un kādam nolūkam bija paredzēts tās lietot?

Nugalviq tika izstrādātas kā zāles lietošanai pieaugušajiem un bērniem no divu gadu vecuma ar apstiprinātu klasiskas galaktozēmijas (saukta arī par galaktozes-1-fosfāta uridiltransferāzes deficītu) diagnozi. Šīs zāles bija paredzēts lietot papildus diētai ar samazinātu galaktozes saturu.

Nugalviq satur aktīvo vielu govorestatu, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas kā iekšķīgi lietojama šķidra suspensija.

2022. gada 21. jūnijā *Nugalviq* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss galaktozēmijas ārstēšanai. Sīkāka informācija par reti slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Kā *Nugalviq* darbojas?

Galaktoze ir cukura veids, kas atrodams dažos pārtikas produktos un ko ražo arī organisms. Cilvēki ar klasisku galaktozēmiju nevar pareizi noārdīt galaktozi, izraisot tās uzkrāšanos organismā. Enzīms, ko dēvē par aldozes reduktāzi, pārvērš šo lieko galaktozi par vielu, ko dēvē par galaktitolu, kas ir kaitīga organismam un rada attīstības problēmas un noteiktu orgānu bojājumus. Paredzams, ka *Nugalviq* aktīvā viela bloķēs aldozes reduktāzes aktivitāti, tādējādi samazinot galaktitola veidošanos. Tika sagaidīts, ka *Nugalviq* uzlabos simptomus cilvēkiem ar klasisku galaktozēmiju.



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmuma iesniegtajā pamatpētījumā bija iekļauti dati par 47 bērniem vecumā no diviem gadiem ar klasisko galaktozēmiju. Pētījumā *Nugalviq* tika salīdzinātas ar placebo (fiktīvu ārstēšanu). Galvenais efektivitātes rādītājs bija runas un valodas prasmju, uzvedības un spēju veikt ikdienas darbības izmaiņu kombinēts mērījums. Turklāt uzņēmums iesniedza pamatojošus datus no pētījuma, kurā piedalījās 33 pieaugušie un kurā tika mērītas galaktitola līmeņa izmaiņas, kā arī datus par septiņu pieaugušo ilgtermiņa novērošanu.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma sākotnēji iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumus uzņēmumam. Pieteikuma atsaukšanas brīdī Aģentūra novērtēja uzņēmuma iesniegtās atbildes uz jautājumiem.

Kāds bija aģentūras ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz aģentūras jautājumiem, atsaukšanas brīdī Aģentūrai bija daži iebildumi, un aģentūra tobrīd provizoriski atzina, ka *Nugalviq* nevarēja apstiprināt klasiskās galaktozēmijas ārstēšanai.

Aģentūrai bija vairākas bažas par galvenā pētījuma rezultātiem, kā arī par to, kā pētījums tika veikts un kā dati tika vākti un apstrādāti. Aģentūra arī uzskatīja, ka pētījumu var uzskatīt tikai par pētniecisku, jo tā plānojumā ir veiktas vēlīnas izmaiņas. Nebija arī pietiekami daudz informācijas par to, kā zāles darbojas organismā un kā tās ietekmētu pārtiku, kā arī netika pienācīgi izvērtēts to potenciālais vēža risks. Turklāt bija jautājumi par ierosināto devu un par pašu zāļu kvalitāti.

Tā kā uzņēmums lūdza tirdzniecības atļauju ar nosacījumiem, aģentūra norādīja, ka šādas atļaujas saņemšanas prasības nav izpildītas.

Tāpēc atsaukšanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka pētījuma rezultāti nav ticami, un secināja, ka šīs zāles nevar reģistrēt, pamatojoties uz sniegtajiem datiem.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka ir vajadzīgs vairāk laika, lai savāktu papildu datus, kas pamatotu *Nugalviq* novērtējumu ierosinātās indikācijas gadījumā.

Vai šis atsaukums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja Aģentūru, ka pacientus, kuri pašlaik piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā, tas neietekmēs.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par savu terapiju, jautāiet savam klīniskā pētījuma ārstam.