



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 ta' Jannar 2025
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited irtirat l-applikazzjoni tagħha għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Nugalviq għat-trattament tal-galattosemija klassika, kundizzjoni fejn il-ġisem ma jkunx jista' jkisser zokkor imsejjaħ galattożju.

Il-kumpanija rtirat l-applikazzjoni fl-10 ta' Diċembru 2024.

X'inhu Nugalviq u għal xiex kien mistenni li jintuża?

Nugalviq għie żviluppat bħala medicina għall-użu f'adulti u tfal minn sentejn 'il fuq b'dijanjozi kkonfermata ta' galattosemija klassika (magħrufa wkoll bħala defiċjenza ta' galattożju-1-fosfat uridililtransferaži). Il-medicina kellha tintuża flimkien ma' dieta ristretta fil-galattożju.

Nugalviq fih is-sustanza attiva govorestat u kellu jkun disponibbli bħala sospensjoni likwida li għandha tittiehed mill-ħalq.

Nugalviq għie kklassifikat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fil-21 ta' Ġunju 2022 għall-galattosemija. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Kif jaħdem Nugalviq?

Il-galattożju huwa tip ta' zokkor li jinsab f'ċertu ikel u li hu magħmul ukoll mill-ġisem. Persuni b'galattosemija klassika ma jistgħux ikissru l-galattożju kif suppost, u dan iwassal biex jingema' f'ġisimhom. Enzima li tissejjaħ aldożju riduttaži tikkonverti dan il-galattożju żejjed f'sustanza msejjaħ galattitol, li hija ta' ħsara għall-ġisem u tikkawża problemi bl-iżvilupp u ħsara lil ċerti organi. Is-sustanza attiva f'Nugalviq kienet mistennija timblokka l-attività ta' aldożju riduttaži, u b'hekk tnaqqas il-formazzjoni ta' galattitol. Nugalviq kien mistenni li jtejjeb is-sintomi f'persuni li jbatu mill-galattosemija klassika.

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



X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

L-istudju ewlieni pprezentat mill-kumpanija inkluda *data* minn 47 tifel u tifla li għandhom minn sentejn 'il fuq b'galattosemija klassika. L-istudju qabbel Nugalviq ma' placebo (trattament fint). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien kejl ikkombinat tal-bidla fil-ħiliet tad-diskors u tal-lingwa, fl-imġiba u fil-kapaċità li jitwettqu attivitajiet ta' kuljum. Barra minn hekk, il-kumpanija ssottomettiet *data* ta' appoġġ minn studju li involva 33 adult li kejjel bidla fil-livelli ta' galattitol, kif ukoll *data* dwar is-segwitu fit-tul ta' 7 adulti.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini kienet evalwat l-informazzjoni inizjali mill-kumpanija u kienet ifformulat lista ta' mistoqsijiet għall-kumpanija. L-Aġenzija kienet qiegħda tivvaluta t-tweġibiet tal-kumpanija għall-mistoqsijiet fiż-żmien tal-irtirar.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tal-Aġenzija dak iż-żmien?

Fuq il-baži tar-reviżjoni tad-*data* u t-tweġiba tal-kumpanija għall-mistoqsijiet tal-Aġenzija, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kellha xi tħassib u l-opinjoni provviżorja tagħha kienet li Nugalviq ma setax jiġi awtorizzat għat-trattament ta' galattosemija klassika.

L-Aġenzija kellha għadd ta' tħassib dwar ir-rizultati tal-istudju ewlieni, kif ukoll dwar kif twettaq l-istudju u kif id-*data* kienet inġabret u ġiet ipproċessata. L-Aġenzija kkunsidrat ukoll li l-istudju seta' jitqies bħala esploratorju biss minħabba bidliet tard fid-disinn tiegħu. Lanqas ma kien hemm biżżejjed informazzjoni dwar kif il-mediċina taġixxi fil-ġisem u kif tiġi affettwata mill-ikel, u lanqas ma ġie indirizzat b'mod adegwat ir-riskju potenzjali tagħha ta' kanċer. Barra minn hekk, kien hemm mistoqsijiet dwar id-dożaġġ propost u dwar il-kwalità tal-mediċina nnifisha.

Peress li l-kumpanija kienet qed tfittex awtorizzazzjoni kkundizzjonata għat-tqegħid fis-suq, l-Aġenzija nnotat li r-rekwiżiti għal awtorizzazzjoni bħal din ma ġewx issodisfati.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li r-rizultati tal-istudju ma kinux affidabbli u kkonkludiet li l-mediċina ma setgħetx tiġi awtorizzata abbaži tad-*data* pprovduta.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

[Fl-ittra](#) li bagħtet lill-Aġenzija biex tgħarrafha bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li kellha bżonn aktar żmien biex tiġbor aktar *data* biex tappoġġa l-valutazzjoni ta' Nugalviq fl-indikazzjoni proposta.

X'inhuma l-konsegwenzi ta' dan l-irtirar għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompasjoni?

Il-kumpanija għarrfet lill-Aġenzija li ma hemm l-ebda konsegwenza għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompasjoni bl-użu ta' govorestat.

Jekk inti qed tiegħu sehem fi prova klinika jew minn programmi ta' użu b'kompasjoni u tehtieg aktar informazzjoni dwar it-trattament tiegħek, tkellem mat-tabib tal-prova klinika tiegħek.