



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Nugalviq(*govorestat*)

Advanz Pharma Limited heeft zijn aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Nugalviq ingetrokken. Nugalviq was bedoeld voor de behandeling van klassieke galactosemie, een aandoening waarbij het lichaam de suiker galactose niet kan afbreken.

Het bedrijf heeft de aanvraag op 10 december 2024 ingetrokken.

Wat is Nugalviq en voor welke behandeling was het bedoeld?

Nugalviq werd ontwikkeld als geneesmiddel voor gebruik bij volwassenen en kinderen van 2 jaar en ouder met een bevestigde diagnose van klassieke galactosemie (ook wel galactose-1-fosfaat-uridytransferasedeficiëntie genoemd). Het geneesmiddel zou worden gebruikt als aanvulling op een galactosebeperkt dieet.

Nugalviq bevat de werkzame stof govorestat en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van een vloeibare suspensie die via de mond moet worden ingenomen.

Nugalviq werd op 21 juni 2022 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor de behandeling van galactosemie. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Hoe werkt Nugalviq?

Galactose is een type suiker die in bepaalde voedingsmiddelen wordt aangetroffen en die ook door het lichaam wordt aangemaakt. Mensen met klassieke galactosemie kunnen galactose niet goed afbreken, waardoor het zich in hun lichaam ophoopt. Het enzym aldosereductase zet deze overtollige galactose om in de stof galactitol die schadelijk is voor het lichaam en ook problemen met de ontwikkeling en schade aan bepaalde organen veroorzaakt. Verwacht werd dat de werkzame stof in Nugalviq de activiteit van aldosereductase zou blokkeren en zo de vorming van galactitol zou verminderen. Er werd verwacht dat Nugalviq de symptomen bij mensen met klassieke galactosaemie zou verbeteren.

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



Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

De door het bedrijf ingediende hoofdstudie omvatte gegevens van 47 kinderen van 2 jaar en ouder met klassieke galactosaemie. Nugalviq werd in de studie vergeleken met placebo (een schijnbehandeling). De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was een gecombineerde meting van de verandering in de spraak- en taalvaardigheid, het gedrag en het vermogen om dagelijkse activiteiten uit te voeren. Daarnaast diende het bedrijf ondersteunende gegevens in van een studie onder 33 volwassenen waarin een verandering in de galactitolspiegels werd gemeten, evenals gegevens over de langetermijnfollow-up van 7 volwassenen.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De aanvraag werd ingetrokken nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door het bedrijf verstrekte informatie had bestudeerd en vragen voor het bedrijf had opgesteld. Op het ogenblik van de intrekking werden de antwoorden van het bedrijf op de vragen nog door het Geneesmiddelenbureau beoordeeld.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens en het antwoord van het bedrijf op de vragen van het Geneesmiddelenbureau, had het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Nugalviq voor de behandeling van klassieke galactosemie niet kon worden goedgekeurd.

Het Geneesmiddelenbureau had een aantal bedenkingen bij de resultaten van de hoofdstudie, de manier waarop de studie was uitgevoerd en de wijze waarop de gegevens waren verzameld en verwerkt. Het Geneesmiddelenbureau was voorts van mening dat de studie alleen als verkennend kon worden beschouwd vanwege laattijdige wijzigingen in de opzet ervan. Er was ook onvoldoende informatie over hoe het geneesmiddel zich in het lichaam gedraagt en hoe het zou worden beïnvloed door voedsel. Er werd ook onvoldoende aandacht besteed aan het potentiële risico op kanker. Bovendien waren er vragen over de voorgestelde dosering en over de kwaliteit van het geneesmiddel zelf.

Aangezien het bedrijf een aanvraag had ingediend voor een voorwaardelijke vergunning voor het in de handel brengen, merkte het Geneesmiddelenbureau op dat niet was voldaan aan de voorwaarden voor een dergelijke vergunning.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het moment van de intrekking van mening dat de resultaten van de studie niet betrouwbaar waren en concludeerde het dat het geneesmiddel niet kon worden goedgekeurd op basis van de verstrekte gegevens.

Welke redenen gaf het bedrijf voor het intrekken van de aanvraag?

In de [brief](#) waarin het bedrijf het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde het bedrijf dat het meer tijd nodig had om verdere gegevens te verzamelen ter ondersteuning van de beoordeling van Nugalviq voor de voorgestelde indicatie.

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

Het bedrijf heeft het Geneesmiddelenbureau meegedeeld dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met govorestat, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.