



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 stycznia 2025 r.
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Nugalviq (*goworestat*)

Firma Advanz Pharma Limited wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Nugalviq, który miał być stosowany w leczeniu klasycznej galaktozemii, choroby, w przebiegu której organizm nie jest w stanie rozkładać cukru zwanego galaktozą.

Firma wycofała wniosek w dniu 10 grudnia 2024 r.

Co to jest produkt Nugalviq i w jakim celu miał być stosowany?

Produkt Nugalviq opracowano jako lek przeznaczony do stosowania u osób dorosłych i dzieci w wieku od 2 lat z potwierdzoną diagnozą galaktozemii klasycznej (znanej także jako niedobór urydylotransferazy galaktozo-1-fosforanu). Produkt miał być stosowany w uzupełnieniu diety o obniżonej zawartości galaktozy.

Substancją czynną zawartą w produkcie Nugalviq jest goworestat. Produkt miał być dostępny w postaci ciekłej zawiesiny do przyjmowania doustnego.

W dniu 21 czerwca 2022 r. produkt Nugalviq uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu galaktozemii. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Jak działa produkt Nugalviq

Galaktoza jest rodzajem cukru występującym w niektórych produktach spożywczych oraz wytwarzanym przez organizm. U osób z klasyczną galaktozemią organizm nie jest w stanie prawidłowo rozkładać galaktozy, co powoduje jej gromadzenie się w organizmie. Enzym o nazwie reduktaza aldozy przekształca nadmiar galaktozy w substancję zwaną galaktitolem, która jest szkodliwa dla organizmu, powodując zaburzenia rozwoju i uszkodzenie niektórych narządów. Oczekiwano, że substancja czynna produktu Nugalviq zablokuje aktywność reduktazy aldozy, ograniczając tym samym tworzenie się galaktitolu. Spodziewano się zatem, że produkt Nugalviq złagodzi objawy u osób z klasyczną galaktozemią.

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



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Wyniki badania głównego przedstawione przez firmę zawierały dane dotyczące 47 dzieci w wieku od 2 lat z klasyczną galaktozyemią. W badaniu tym porównywano produkt Nugalviq z placebo (leczeniem pozorowanym). Głównym kryterium oceny skuteczności był połączony pomiar zmian w zakresie umiejętności mówienia i języka, zachowania i zdolności wykonywania codziennych czynności. Ponadto firma przedłożyła dane uzupełniające z badania z udziałem 33 osób dorosłych, w którym dokonywano pomiarów zmiany poziomów galaktitolu, a także dane dotyczące długoterminowej obserwacji kontrolnej 7 osób dorosłych.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny wstępnych informacji przedłożonych przez firmę i sformułowaniu pytań do firmy. W momencie wycofania Agencja była w trakcie przeprowadzania oceny odpowiedzi udzielonych przez firmę na listę pytań.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania Agencji i wstępna opinia wskazywała, że produkt Nugalviq nie może być zatwierdzony w leczeniu klasycznej galaktozemii.

Agencja zgłosiła szereg zastrzeżeń dotyczących wyników badania głównego, a także sposobu przeprowadzenia badania oraz sposobu gromadzenia i przetwarzania danych. Agencja uznała ponadto, że badanie można postrzegać jedynie jako badanie rozpoznawcze ze względu na późne wprowadzenie zmian w jego koncepcji. Nie przedstawiono również wystarczających informacji na temat tego, jak lek zachowuje się w organizmie ani jak wpływa na niego żywność, a także nie uwzględniono w odpowiedni sposób potencjalnego ryzyka wystąpienia choroby nowotworowej. Ponadto pojawiły się pytania dotyczące proponowanego dawkowania i jakości samego leku.

Ponieważ firma wnioskowała o warunkowe dopuszczenie do obrotu, Agencja stwierdziła, że wymagania dotyczące takiego dopuszczenia nie zostały spełnione.

W związku z tym w momencie wycofania wniosku Agencja uznała, że wyniki badania nie były wiarygodne, i stwierdziła, że na podstawie przedstawionych danych nie można było dopuścić leku do obrotu.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że potrzebuje więcej czasu na zebranie dodatkowych danych na poparcie oceny produktu Nugalviq w proponowanym wskazaniu.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy z użyciem produktu Nugalviq.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.