



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 de janeiro de 2025  
EMA/33759/2025  
EMA/H/C/006270

## Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Nugalviq (*govorestat*)

A Advanz Pharma Limited retirou o seu pedido de autorização de introdução no mercado de Nugalviq para o tratamento da galactosemia clássica, uma doença em que o organismo não pode decompor um açúcar denominado galactose.

A empresa retirou o pedido em 10 de dezembro de 2024.

### O que é o Nugalviq e qual a utilização prevista?

O Nugalviq foi desenvolvido como um medicamento para utilização em adultos e crianças com idade igual ou superior a 2 anos, com um diagnóstico confirmado de galactosemia clássica (também conhecida como deficiência de galactose-1-fosfato de uridiltransferase). O medicamento destinava-se a ser utilizado em adição a uma dieta com restrição da galactose.

O Nugalviq contém a substância ativa govorestat e iria ser disponibilizado na forma de suspensão líquida a tomar por via oral.

O Nugalviq foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 21 de junho de 2022 para a galactosemia. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no sítio Internet da Agência: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### Como funciona o Nugalviq?

A galactose é um tipo de açúcar que se encontra em certos alimentos e que também é produzido pelo organismo. As pessoas com galactosemia clássica não conseguem decompor adequadamente a galactose, fazendo com que esta se acumule no seu organismo. Uma enzima denominada aldose redutase converte este excesso de galactose numa substância denominada galactitol, que é prejudicial para o organismo e causa problemas de desenvolvimento e danos em determinados órgãos. Esperava-se que a substância ativa do Nugalviq bloqueasse a atividade da aldose redutase, reduzindo assim a formação de galactitol. Esperava-se que o Nugalviq melhorasse os sintomas em pessoas com galactosemia clássica.

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?**

O estudo principal apresentado pela empresa incluiu dados de 47 crianças com idade igual ou superior a 2 anos com galactosemia clássica. O estudo comparou o Nugalviq com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a medição combinada da mudança nas competências na fala e na linguagem, no comportamento e na capacidade de realizar atividades diárias. Além disso, a empresa apresentou dados de apoio de um estudo que incluiu 33 adultos que mediram uma alteração nos níveis de galactitol, bem como dados sobre o acompanhamento a longo prazo de 7 adultos.

## **Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?**

O pedido foi retirado depois de a Agência Europeia de Medicamentos ter avaliado as informações iniciais fornecidas pela empresa e formulado perguntas para a empresa. Estava a decorrer a avaliação, pela EMA, das respostas dadas pela empresa à lista de perguntas quando o pedido foi retirado.

## **Qual era a recomendação da Agência no momento da retirada?**

Com base na análise dos dados e da resposta da empresa às perguntas da Agência, no momento da retirada, a Agência tinha algumas questões, sendo de parecer que o Nugalviq não podia ser autorizado para o tratamento da galactosemia clássica.

A Agência manifestou várias preocupações quanto aos resultados do estudo principal, bem como à forma como o estudo foi realizado e à forma como os dados foram recolhidos e tratados. Além disso, a Agência considerou que o estudo só podia ser considerado exploratório devido a alterações tardias do seu desenho. Também não existiam informações suficientes sobre a forma como o medicamento se comporta no organismo e como seria afetado pelos alimentos, nem o seu potencial risco de cancro foi abordado de forma adequada. Além disso, existiam questões sobre a dosagem proposta e a qualidade do medicamento em si.

Dado que a empresa estava a procurar uma autorização de introdução no mercado condicional, a Agência observou que os requisitos para essa autorização não eram cumpridos.

Por conseguinte, no momento da retirada, a Agência considerou que os resultados do estudo não eram fiáveis e concluiu que o medicamento não podia ser autorizado com base nos dados fornecidos.

## **Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?**

Na [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido de autorização, a empresa declarou que necessitava de mais tempo para recolher dados adicionais para apoiar a avaliação do Nugalviq na indicação proposta.

## **Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso?**

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou em programas de uso compassivo de govorestat.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, fale com o médico do ensaio clínico.