



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. januára 2025
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Nugalviq (*govorestat*)

Spoločnosť Advanz Pharma Limited stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Nugalviq na trh, ktorý je určený na liečbu klasickej galaktosémie, čo je ochorenie, pri ktorom sa v tele nemôže rozkladať cukor nazývaný galaktóza.

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 10. decembra 2024.

Čo je liek Nugalviq a aké bolo predpokladané použitie?

Liek Nugalviq bol vyvinutý ako liek na použitie u dospelých a detí vo veku od 2 rokov s potvrdenou diagnózou klasickej galaktosémie (známej aj ako nedostatok galaktózy-1-fosfátu uridylyltransferázy). Liek sa mal používať ako doplnok k diéte s obmedzeným príjmom galaktózy.

Liek Nugalviq obsahuje liečivo govorestat a mal byť dostupný vo forme tekutej suspenzie, ktorá sa mala užívať ústami.

Liek Nugalviq bol 21. júna 2022 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu galaktosémie. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Akým spôsobom liek Nugalviq účinkuje?

Galaktóza je druh cukru, ktorý sa nachádza v určitých potravinách a vytvára ho aj telo. U osôb s klasickou galaktosémiou sa galaktóza nedokáže správne rozkladať, čo spôsobuje, že sa hromadí v tele. Enzým nazývaný aldózová reduktáza konvertuje túto nadmernú galaktózu na látku nazývanú galaktitol, ktorá je škodlivá pre telo a spôsobuje problémy s vývojom a poškodením určitých orgánov. Očakávalo sa, že liečivo lieku Nugalviq zablokuje aktivitu aldózovej reduktázy, čím sa zníži tvorba galaktitolu. Predpokladalo sa, že liek Nugalviq zmierni príznaky u osôb s klasickou galaktosémiou.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Hlavná štúdia, ktorú spoločnosť predložila, obsahovala údaje od 47 detí vo veku od 2 rokov s klasickou galaktosémiou. V štúdiu sa porovnával liek Nugalviq s placebom (zdanlivým liekom). Hlavným meradlom účinnosti bolo kombinované meranie zmeny rečových a jazykových schopností, správania a schopnosti vykonávať každodenné činnosti. Spoločnosť okrem toho predložila aj podporné údaje zo štúdie, v ktorej bolo zahrnutých 33 dospelých a v ktorej sa merala zmena hladín galaktitolu, ako aj údaje o dlhodobom sledovaní 7 dospelých.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila pôvodnú dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a vypracovala zoznam otázok pre spoločnosť. V čase stiahnutia žiadosti agentúra posudzovala odpovede spoločnosti na otázky.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Nugalviq nemôže byť povolený na liečbu klasickej galaktosémie.

Agentúra vyjadrila niekoľko výhrad ohľadne výsledkov hlavnej štúdie, ako aj toho, ako sa štúdia vykonávala a ako boli údaje zhromažďované a spracúvané. Agentúra ďalej usúdila, že štúdiu možno vzhľadom na neskoré zmeny v jej návrhu považovať len za prieskumnú. Takisto neboli k dispozícii dostatočné informácie o tom, ako sa liek správa v tele a ako by bol ovplyvnený potravinami, a nevenovala sa primeraná pozornosť ani riziku, že môže prispieť ku vzniku rakoviny. Okrem toho sa objavili otázky týkajúce sa navrhovaného dávkovania a kvality samotného lieku.

Kedže spoločnosť požiadala o povolenie na uvedenie na trh s podmienkou, agentúra konštatovala, že požiadavky na takéto povolenie neboli splnené.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že výsledky štúdie nie sú spoľahlivé a dospela k záveru, že liek nemôže byť povolený na základe údajov, ktoré boli predložené.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že potrebuje viac času na zhromaždenie ďalších údajov na podporu posúdenia lieku Nugalviq v navrhovanej indikácii.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie liečiva govorestat v naliehavých prípadoch nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.