



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Nugalviq (*govorestat*)

Podjetje Advanz Pharma Limited je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Nugalviq za zdravljenje klasične galaktozemije, tj. bolezni, pri kateri telo ne more razgraditi sladkorja, imenovanega galaktoza.

Podjetje je vlogo umaknilo 10. decembra 2024.

### **Kaj je zdravilo Nugalviq in za kaj naj bi se uporabljalo?**

Zdravilo Nugalviq je bilo razvito kot zdravilo za uporabo pri odraslih in otrocih, starih dve leti ali več, s potrjeno diagnozo klasične galaktozemije (znano tudi kot pomanjkanje galaktoze-1-fosfat uridililtransferaze). Zdravilo naj bi se uporabljalo kot dodatek dieti z omejeno vsebnostjo galaktoze.

Zdravilo Nugalviq vsebuje učinkovino govorestat in naj bi bilo na voljo v obliki tekoče suspenzije za peroralno uporabo.

Zdravilo Nugalviq je bilo 21. junija 2022 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje galaktozemije. Več informacij o zdravilih sirotah je voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642).

### **Kako zdravilo Nugalviq deluje?**

Galaktoza je vrsta sladkorja, ki se pojavlja v nekaterih živilih in jo proizvaja tudi telo. Osebe s klasično galaktozemijo je ne morejo pravilno razgraditi, kar povzroča njeno kopičenje v telesu. Encim, imenovan aldozna reduktaza, to presežno galaktozo pretvori v snov, imenovano galaktitol, ki je škodljiva za telo ter povzroča težave pri razvoju in poškodbe nekaterih organov. Učinkovina v zdravilu Nugalviq naj bi zavirala aktivnost aldozne reduktaze in tako zmanjšala nastajanje galaktitola. Zdravilo Nugalviq naj bi tako izboljšalo simptome pri ljudeh s klasično galaktozemijo.

### **Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?**

Glavna študija, ki jo je predložilo podjetje, je vključevala podatke o 47 otrocih, starih dve leti ali več, s klasično galaktozemijo. V študiji so zdravilo Nugalviq primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bilo kombinirano merjenje motenj govora in jezikovnega

---

**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



izražanja, vedenja in sposobnosti izvajanja vsakodnevnih dejavnosti. Poleg tega je podjetje predložilo podporne podatke iz študije, ki je vključevala 33 odraslih in v kateri so merili spremembo ravni galaktitola, ter podatke o dolgoročnem spremljanju sedmih odraslih.

## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Ob umiku vloge je agencija ocenjevala odgovore podjetja na zastavljena vprašanja.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?**

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na vprašanja, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravila Nugalviq ni mogoče odobriti za zdravljenje klasične galaktozemije.

Agencija je imela številne zadržke glede rezultatov glavne študije ter glede tega, kako je bila študija izvedena ter kako so bili podatki zbrani in obdelani. Poleg tega je menila, da je študijo zaradi poznih sprememb njene zasnove mogoče obravnavati le kot raziskovalno študijo. Prav tako ni bilo dovolj informacij o tem, kako bi se zdravilo obnašalo v telesu in kako bi nanj vplivala hrana, prav tako pa tudi ni bilo ustrezno obravnavano njegovo morebitno tveganje za nastanek raka. Pojavila so se tudi vprašanja o predlaganem odmerjanju in kakovosti samega zdravila.

Podjetje je zaprosilo za pogojno dovoljenje za promet, vendar je agencija ugotovila, da zahteve za takšno dovoljenje niso bile izpolnjene.

Zato je ob umiku vloge menila, da rezultati študije niso zanesljivi, in zaključila, da na podlagi predloženih podatkov zdravila ni mogoče odobriti.

## **Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?**

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da potrebuje več časa za pridobitev dodatnih podatkov v podporo oceni zdravila Nugalviq pri predlagani indikaciji.

## **Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?**

Podjetje je agencijo obvestilo, da zavrnitev nima posledic za bolnike, vključene v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe govorestatata.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.