



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Nugalviq för behandling av klassisk galaktosemi, en sjukdom där kroppen inte kan bryta ner galaktos (en typ av socker).

Företaget återkallade sin ansökan den 10 december 2024.

Vad är Nugalviq och vad skulle det användas för?

Nugalviq togs fram som ett läkemedel för vuxna och barn från 2 års ålder med bekräftad diagnos på klassisk galaktosemi (galaktos-1-fosfat-uridyltransferasbrist). Läkemedlet skulle användas som tillägg till en galaktosbegränsad kost.

Nugalviq innehåller den aktiva substansen govorestat och skulle finnas som en oral suspension (en vätska som skulle sväljas).

Nugalviq klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 21 juni 2022 för användning mot galaktosemi. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Hur verkar Nugalviq?

Galaktos är en typ av socker som finns i vissa livsmedel och som även bildas i kroppen. Vid klassisk galaktosemi har kroppen svårt att bryta ner galaktos, vilket gör att den ansamlas. Enzymet aldoseduktas omvandlar detta överskott av galaktos till galaktitol, en substans som är skadlig för kroppen och orsakar utvecklingsrelaterade problem och organskador. Den aktiva substansen i Nugalviq förväntades blockera aktiviteten av aldoseduktas och på så sätt minska bildningen av galaktitol. Nugalviq förväntades förbättra symtomen hos personer med klassisk galaktosemi.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

I den huvudstudie som företaget lämnat in ingick data från 47 barn från 2 års ålder med klassisk galaktosemi. I studien jämfördes Nugalviq med placebo (overksam behandling). Huvudeffektområdet var en kombinerad mätning av förändringar i tal- och språkförmåga, beteende och förmåga att utföra dagliga bestyr. Dessutom lämnade företaget in stödande uppgifter från en studie på 33 vuxna där förändringen av galaktitolnivåerna mättes, samt data från långsiktig uppföljning av 7 vuxna.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) hade utvärderat den ursprungliga dokumentationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet höll myndigheten på att utvärdera företagets svar på frågorna.

Vad rekommenderade EMA vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på EMA:s frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Nugalviq inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av klassisk galaktosemi.

EMA hyste ett antal betänkligheter om resultaten av huvudstudien, hur studien hade genomförts och hur uppgifterna hade samlats in och behandlats. EMA ansåg vidare att studien endast kunde betraktas som explorativ/orienterande på grund av sena ändringar av dess utformning. Det fanns inte heller tillräcklig information om hur läkemedlet beter sig i kroppen och hur det skulle påverkas av livsmedel, och läkemedlets potentiella cancerrisk hade inte undersökts på lämpligt sätt. Dessutom fanns det betänkligheter om den föreslagna doseringen och om läkemedlets kvalitet.

Företaget ville få ett villkorligt godkännande för försäljning, men myndigheten kom fram till att kraven för ett sådant godkännande inte uppfylldes.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att resultaten av studien inte var tillförlitliga och drog slutsatsen att läkemedlet inte skulle ha kunnat godkännas på grundval av de uppgifter som lämnats in.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin [skrivelse](#) till myndigheten om att ansökan återkallats uppgav företaget att det behövde mer tid för att samla in ytterligare uppgifter till stöd för bedömningen av Nugalviq i den föreslagna indikationen.

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med govorestat.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.