



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. července 2020  
EMA/393579/2020  
EMA/H/C/002311/II/0061

## Otázky a odpovědi týkající se použití přípravku Votubia u dětí ve věku od šesti měsíců

Evropská agentura pro léčivé přípravky dokončila své hodnocení žádosti o rozšíření použití přípravku Votubia k léčbě záchvatů souvisejících s tuberózní sklerózou u dětí od šesti měsíců věku.

Ačkoli Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury EMA toto rozšíření nedoporučil, souhlasil s tím, aby byly relevantní údaje ze studie předložené spolu se žádostí zahrnuty do informací o přípravku pro tento léčivý přípravek.

### Co je Votubia a k čemu se používá?

Votubia je léčivý přípravek, který se používá k léčbě těchto benigních (nezhoubných) nádorů způsobených genetickým onemocněním s názvem tuberózní skleróza:

- subependymální obrovskobuněčný astrocytom, což je nezhoubný nádor mozku. V tomto případě se přípravek používá u dospělých a dětí, u nichž nelze nádor mozku odstranit chirurgicky,
- renální angiomyolipom, což je nezhoubný nádor ledvin. V tomto případě se přípravek používá u dospělých, kterým hrozí komplikace, ale u nichž není nutný okamžitý chirurgický zákrok.

Tento léčivý přípravek se používá rovněž jako přídatná léčba u pacientů ve věku od dvou let, kteří trpí záchvaty souvisejícími s tuberózní sklerózou a nereagují na jiné druhy léčby. Přípravek Votubia se používá k léčbě parciálních záchvatů (záchvatů, které se spouštějí v jedné části mozku), jež se mohou případně rozšířit a postihnout celý mozek (tzv. sekundární generalizace).

Přípravek Votubia obsahuje léčivou látku everolimus a je k dispozici ve formě tablet k užití ústy.

Další informace o stávajících použitích přípravku Votubia naleznete na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia).

### O jakou změnu společnost žádala?

Společnost požádala o rozšíření použití přípravku Votubia k léčbě záchvatů souvisejících s tuberózní sklerózou u dětí ve věku od šesti měsíců do dvou let.

---

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

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

An agency of the European Union



## **Jak přípravek Votubia působí?**

Léčivá látka v přípravku Votubia, everolimus, působí tak, že blokuje enzym zvaný „cílové místo rapamycinu u savců“ (mTOR), u kterého se má za to, že sehrává roli při záchvatech u pacientů s tuberózní sklerózou, ačkoli mechanismus jeho působení při prevenci těchto záchvatů není zcela objasněn.

## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Na podporu své žádosti společnost neprovedla studii na dětech ve věku od šesti měsíců do dvou let, místo toho však odhadla hladiny přípravku Votubia v krvi těchto dětí pomocí matematického modelu, v němž použila údaje ze studií provedených na starších dětech a dospělých.

## **Jaké byly závěry agentury EMA?**

Agentura poznamenala, že rozpětí chyby tohoto modelu je příliš široké, což znamená, že predikce vhodné dávky v tomto modelu nelze považovat za dostatečně přesné na to, aby bylo možné podpořit rozšíření použití přípravku Votubia na mladší děti (ve věku od šesti měsíců do dvou let).

Ačkoliv přípravek Votubia proto nebude v této věkové skupině schválen, budou se aktualizovat informace o jeho předepisování tak, aby zahrnovaly relevantní údaje.

## **Jaké jsou důsledky tohoto výsledku pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Votubia podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Votubia podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Votubia podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.