



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Spørgsmål og svar om brugen af Votubia hos børn i alderen 6 måneder og opefter

Det Europæiske Lægemiddelagentur har afsluttet sin vurdering af en ansøgning om udvidelse af brugen af Votubia til at omfatte behandling af krampeanfald relateret til tuberøs sklerose hos børn i alderen 6 måneder og opefter.

EMA's Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) anbefaler ikke, at denne udvidelse inkluderes, men er indforstået med, at relevante data fra det studie, der blev fremlagt i forbindelse med ansøgningen, medtages i lægemidlets produktinformation.

Hvad er Votubia, og hvad anvendes det til?

Votubia er et lægemiddel til behandling af følgende godartede (ikke-kankrøse) tumorer forårsaget af den genetiske sygdom tuberøs sklerose:

- subependymalt kæmpecelle-astrocytom (SEGA), som er en godartet tumor i hjernen. Lægemidlet anvendes til voksne og børn, hvis hjernetumor ikke kan fjernes ved et kirurgisk indgreb
- renalt angiomyolipom, som er en godartet tumor i nyrerne. Lægemidlet anvendes til voksne, der har risiko for at få komplikationer, men som ikke har behov for et øjeblikkeligt indgreb.

Lægemidlet bruges også som tillægsbehandling hos patienter fra toårsalderen, der lider af anfald som følge af tuberøs sklerose, og som ikke har reageret på andre behandlinger. Votubia bruges til behandling for partielle anfald (anfald, der begynder i én del af hjernen) med eller uden sekundær generalisering (hvor anfaldet efterfølgende spreder sig til hele hjernen).

Votubia indeholder det aktive stof everolimus og fås som tabletter til indtagelse gennem munden.

Yderligere information om de nuværende anvendelser af Votubia findes på agenturets websted: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Hvilken ændring havde virksomheden ansøgt om?

Virksomheden havde ansøgt om udvidelse af brugen af Votubia til at omfatte behandling af krampeanfald relateret til tuberøs sklerose hos børn mellem 6 måneder og 2 år.



Hvordan virker Votubia?

Det aktive stof i Votubia, everolimus, virker ved at blokere et enzym, der kaldes det mammaie mål for rapamycin (mTOR), og som menes at spille en rolle ved de krampeanfald, der opstår hos patienter med tuberøs sklerose, men det vides ikke fuldt ud, hvordan lægemidlet virker.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden havde i forbindelse med ansøgningen ikke gennemført et studie hos børn mellem 6 måneder og 2 år, men skønnede i stedet, hvad koncentrationen af Votubia ville være i blodet hos disse børn, ved hjælp af en matematisk model, hvor der blev anvendt data fra studier af ældre børn og voksne.

Hvad var EMA's konklusioner?

Agenturet bemærkede, at fejlmarginen for denne model var for bred, hvilket betyder, at modellens beregninger af den rette dosis ikke kan anses som tilstrækkeligt nøjagtige til at støtte en udvidelse af brugen af Votubia til yngre børn (6 måneder til 2 år).

Selvom Votubia derfor ikke godkendes i denne aldersgruppe, vil ordineringsoplysningerne for lægemidlet blive opdateret med de relevante data.

Hvilke konsekvenser har dette udfald for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har informeret agenturet om, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Votubia eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk studie eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.