



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fragen und Antworten zur Anwendung von Votubia bei Kindern im Alter ab 6 Monaten

Die Europäische Arzneimittel-Agentur hat die Beurteilung eines Antrags zur Ausweitung der Anwendung von Votubia auf die Behandlung von Anfällen im Zusammenhang mit tuberöser Sklerose bei Kindern ab dem Alter von sechs Monaten abgeschlossen.

Obwohl der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der EMA diese Erweiterung nicht empfahl, stimmte er zu, dass relevante Daten aus der mit dem Antrag vorgelegten Studie in die Produktinformationen des Arzneimittels aufgenommen werden.

Was ist Votubia und wofür wird es angewendet?

Votubia ist ein Arzneimittel zur Behandlung der folgenden gutartigen (nicht kanzerösen) Tumoren, die durch die genetische Krankheit tuberöse Sklerose verursacht werden:

- subependymales Riesenzellastrozytom (SEGA), ein gutartiger Tumor des Gehirns, bei Erwachsenen und Kindern, deren Hirntumor nicht operativ entfernt werden kann;
- renales Angiomyolipom, ein gutartiger Tumor der Nieren, bei Erwachsenen, bei denen ein Risiko für Komplikationen besteht, die jedoch nicht unmittelbar operiert werden müssen.

Das Arzneimittel wird auch als Zusatzbehandlung bei Patienten ab 2 Jahren mit Anfällen im Zusammenhang mit tuberöser Sklerose verwendet, die nicht auf andere Behandlungen angesprochen haben. Votubia wird bei fokalen Anfällen (Anfälle, die in einem Teil des Gehirns beginnen) angewendet, die sich möglicherweise auf das gesamte Gehirn ausbreiten (sekundäre Generalisierung).

Votubia enthält den Wirkstoff Everolimus und ist als Tablette zum Einnehmen erhältlich.

Weitere Informationen zu den derzeitigen Anwendungsgebieten von Votubia finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Welche Änderung hatte das Unternehmen beantragt?

Das Unternehmen beantragte eine Ausweitung des Einsatzes von Votubia bei der Behandlung von Anfällen im Zusammenhang mit tuberöser Sklerose bei Kindern zwischen sechs Monaten und zwei Jahren.

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



Wie wirkt Votubia?

Der Wirkstoff in Votubia, Everolimus, wirkt, indem er ein Enzym namens mTOR („mammalian target of rapamycin“ – Ziel des Rapamycins im Säugetier) hemmt, von dem man annimmt, dass es an den Anfällen, die bei Patienten mit tuberöser Sklerose auftreten, beteiligt ist; es ist jedoch nicht genau bekannt, wie das Arzneimittel diese Anfälle verhindert.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Zur Unterstützung seiner Anwendung führte das Unternehmen keine Studie an Kindern zwischen 6 Monaten und 2 Jahren durch, sondern schätzte stattdessen anhand eines mathematischen Modells unter Verwendung von Daten aus Studien an älteren Kindern und Erwachsenen ab, wie hoch der Blutspiegel von Votubia bei diesen Kindern sein würde.

Schlussfolgerungen der EMA

Die Agentur stellte fest, dass die Fehlerquote dieses Modells zu groß war, was bedeutet, dass die Vorhersagen des Modells für die geeignete Dosis nicht als genau genug angesehen werden konnten, um die Ausweitung der Anwendung von Votubia auf jüngere Kinder (im Alter von 6 Monaten bis 2 Jahren) zu unterstützen.

Aus diesem Grund wird Votubia in dieser Altersgruppe nicht zugelassen. Die Verschreibungsinformationen für Votubia werden jedoch aktualisiert, um relevante Daten aufzunehmen.

Hat das Ergebnis Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen mit Votubia teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.