



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 Ιουλίου 2020
EMA/393579/2020
EMA/H/C/002311/II/0061

Ερωτήσεις και απαντήσεις σχετικά με τη χρήση του Votubia σε παιδιά ηλικίας από 6 μηνών

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων ολοκλήρωσε την αξιολόγηση της αίτησης για επέκταση της χρήσης του Votubia σε παιδιά ηλικίας από έξι μηνών για τη θεραπεία επιληπτικών κρίσεων που οφείλονται σε οζώδη σκλήρυνση.

Παρότι η επιτροπή φαρμάκων για ανθρώπινη χρήση (CHMP) του EMA δεν συνέστησε την επέκταση αυτή, συμφώνησε, βάσει της μελέτης που υποβλήθηκε στο πλαίσιο της αίτησης, τα συναφή δεδομένα να συμπεριληφθούν στις Πληροφορίες Προϊόντος.

Τι είναι το Votubia και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Votubia είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία των ακόλουθων καλοθών (μη καρκινικών) όγκων που προκαλούνται από τη γενετική νόσο με την ονομασία οζώδης σκλήρυνση:

- υποεπενδυματικό γιγαντοκυτταρικό αστροκύτωμα (SEGA), καλοήθης όγκος του εγκεφάλου. Το φάρμακο χορηγείται σε ενήλικες και παιδιά όταν ο εγκεφαλικός όγκος τους δεν μπορεί να αφαιρεθεί χειρουργικά.
- νεφρικό αγγειομυολίωμα, καλοήθης όγκος των νεφρών. Το φάρμακο χορηγείται σε ενήλικες που διατρέχουν κίνδυνο επιπλοκών, αλλά δεν χρειάζονται άμεση χειρουργική επέμβαση.

Το φάρμακο χρησιμοποιείται επίσης ως συμπληρωματική θεραπεία σε ασθενείς ηλικίας 2 ετών και άνω οι οποίοι πάσχουν από επιληπτικές κρίσεις που οφείλονται σε οζώδη σκλήρυνση και δεν ανταποκρίθηκαν σε άλλες θεραπείες. Το Votubia χορηγείται για τη θεραπεία εστιακών κρίσεων (επιληπτικές κρίσεις που ξεκινούν από συγκεκριμένο τμήμα του εγκεφάλου), οι οποίες ενδέχεται να εξαπλωθούν και να προσβάλλουν ολόκληρο τον εγκέφαλο ή ενδέχεται να μην εξαπλωθούν (δευτερογενής γενίκευση).

Το Votubia περιέχει τη δραστική ουσία εβερόλιμους και διατίθεται υπό μορφή δισκίων για χορήγηση από το στόμα.

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τις τρέχουσες χρήσεις του Votubia διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

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



Ποια αλλαγή είχε αιτηθεί η παρασκευάστρια εταιρεία;

Η εταιρεία είχε αιτηθεί την επέκταση της χρήσης του Votubia σε παιδιά ηλικίας από έξι μηνών έως δύο ετών για τη θεραπεία των επιληπτικών κρίσεων που οφείλονται σε οζώδη σκλήρυνση.

Πώς δρα το Votubia;

Η δραστική ουσία του Votubia, η εβερόλιμους, δρα αναστέλλοντας το ένζυμο mTOR (στόχος της ραπαμυκίνης στα θηλαστικά), το οποίο θεωρείται ότι έχει ρόλο στις επιληπτικές κρίσεις που εκδηλώνουν οι ασθενείς με οζώδη σκλήρυνση. Ωστόσο, ο τρόπος με τον οποίο το φάρμακο προλαμβάνει τις επιληπτικές κρίσεις δεν είναι πλήρως κατανοητός.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Για τη στήριξη της αίτησής της, η εταιρεία δεν διεξήγαγε μελέτες σε παιδιά ηλικίας από 6 μηνών έως 2 ετών, αλλά προέβη σε εκτίμηση των επιπέδων του Votubia στο αίμα αυτών των παιδιών με τη βοήθεια ενός μαθηματικού μοντέλου, χρησιμοποιώντας δεδομένα από μελέτες που διεξήχθησαν σε μεγαλύτερα παιδιά και ενήλικες.

Ποια ήταν τα συμπεράσματα του EMA;

Ο Οργανισμός επισήμανε ότι το περιθώριο σφάλματος του συγκεκριμένου μοντέλου είναι πολύ μεγάλο. Αυτό σημαίνει ότι οι προβλέψεις του μοντέλου όσον αφορά την κατάλληλη δόση δεν μπορούν να θεωρηθούν επαρκώς ακριβείς ώστε να υποστηρίξουν την επέκταση της χρήσης του Votubia σε παιδιά μικρότερης ηλικίας (από 6 μηνών έως 2 ετών).

Για τον λόγο αυτό το Votubia δεν θα λάβει άδεια κυκλοφορίας για την εν λόγω ηλικιακή ομάδα, εντούτοις οι πληροφορίες συνταγογράφησης του φαρμάκου θα επικαιροποιηθούν με την προσθήκη των σχετικών δεδομένων.

Επηρεάζει αυτό το αποτέλεσμα τους ασθενείς που μετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που μετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Votubia.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό σας.