



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 de julio de 2020  
EMA/393579/2020  
EMA/H/C/002311/II/0061

## Preguntas y respuestas sobre el uso de Votubia en pacientes pediátricos a partir de los 6 meses

La Agencia Europea de Medicamentos ha finalizado el estudio de una solicitud de autorización para extender el uso de Votubia al tratamiento de las convulsiones (ataques) asociadas con la esclerosis tuberosa en niños a partir de los seis meses.

Aunque el Comité de medicamentos de uso humano (CHMP) de la EMA no recomendó esta ampliación, aceptó que los datos pertinentes del estudio presentado con la solicitud se incluyeran en la información sobre el producto.

### ¿Qué es Votubia y para qué se utiliza?

Votubia es un medicamento utilizado para el tratamiento de los siguientes tumores benignos (no cancerosos) causados por la enfermedad genética denominada esclerosis tuberosa:

- el astrocitoma subependimial de células gigantes (SEGA), un tumor cerebral benigno, en cuyos casos se utiliza en adultos y niños a los cuales no se puede extirpar quirúrgicamente el tumor;
- El angiomiolipoma renal, un tumor renal benigno, donde se utiliza en adultos con riesgo de desarrollar complicaciones pero que no precisan de una intervención quirúrgica inmediata.

El medicamento también se utiliza como tratamiento adicional en pacientes a partir de los 2 años de edad con crisis epilépticas relacionadas con la esclerosis tuberosa que no han respondido a otros tratamientos. Votubia se utiliza en crisis epilépticas de comienzo parcial (crisis que se inician en una parte del cerebro) que pueden o no propagarse hasta afectar a todo el cerebro (generalización secundaria).

Votubia contiene el principio activo everolimus y se presenta en forma de comprimidos para su administración por vía oral.

Se puede obtener más información sobre las indicaciones actuales de Votubia en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia).

### ¿Qué modificación había solicitado la empresa?

La compañía solicitó extender el uso de Votubia en el tratamiento de las convulsiones asociadas con la esclerosis tuberosa a niños entre los seis meses y los dos años.

---

**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



## **¿Cómo actúa Votubia?**

El principio activo de Votubia, everolimus, actúa bloqueando una enzima denominada "diana de rapamicina en células de mamífero" (mTOR), que se cree que desempeña una función en las convulsiones que padecen los pacientes con esclerosis tuberosa, pero no se conoce bien cómo actúa el medicamento para prevenirlos.

## **¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?**

Para apoyar su solicitud de autorización, la compañía no realizó un estudio en niños entre 6 meses y 2 años, sino que calculó cuáles serían los niveles sanguíneos de Votubia en estos niños con un modelo matemático utilizando datos de estudios realizados en niños mayores y en adultos.

## **¿Cuáles fueron las conclusiones de la EMA?**

La Agencia señaló que el margen de error de este modelo era demasiado amplio, lo que significa que las predicciones del modelo para la dosis apropiada no podían considerarse lo suficientemente precisas como para alentar la extensión del uso de Votubia en niños más pequeños (de 6 meses a 2 años).

Aunque, por lo tanto, Votubia no se autorizará en este grupo de edad, la información farmacológica de Votubia se actualizará y se incluirán datos relevantes.

## **¿Qué consecuencias tiene este resultado para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?**

La empresa informó a la Agencia que no hay consecuencias para los pacientes que actualmente participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con Votubia.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con su médico.