



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kysymyksiä ja vastauksia Votubia-valmisteen käytöstä vähintään kuuden kuukauden ikäisillä lapsilla

Euroopan lääkevirasto on saanut valmiiksi arvioinnin, jonka kohteena oli Votubian käytön laajentamista vähintään kuuden kuukauden ikäisten lasten tuberoosiskleroosiin liittyvien kohtausten hoitoon koskeva hakemus.

Vaikka Euroopan lääkeviraston ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea (CHMP) ei suositellut käytön laajentamista tällä tavalla, se katsoi, että hankkeen mukana toimitetusta tutkimuksesta saadut merkitykselliset tiedot on lisättävä lääkkeen valmistetietoihin.

Mitä Votubia on ja mihin sitä käytetään?

Votubiaa käytetään seuraavien tuberoosiskleroosi-nimisestä geneettisestä sairaudesta johtuvien hyvänlaatuisten kasvainten (ei syöpäkasvainten) hoitoon:

- subependymaalinen jättisoluaastrozytooma (SEGA), hyvänlaatuinen aivokasvain; valmistetta käytetään aikuisilla ja lapsilla, joiden aivokasvainta ei voida poistaa kirurgisesti
- munuaisten angiomyolipooma, hyvänlaatuinen munuaiskasvain; valmistetta käytetään aikuisilla, joilla on komplikaatioiden riski mutta ei välitöntä leikkaustarvetta.

Lääkettä käytetään myös lisähoitona vähintään 2-vuotiailla potilailla, joilla on tuberoosiskleroosiin liittyviä kohtauksia, joihin muut hoidot eivät ole tehonneet. Votubiaa käytetään paikallisalkuisiin epilepsiakohtauksiin (aivojen yhdessä osassa alkavat kohtaukset), jotka leviävät tai eivät leviä kaikkialle aivoihin (toissijaisesti yleistyvät paikallisalkuiset kohtaukset).

Votubian vaikuttava aine on everolimuusi, ja sitä on saatavana suun kautta otettavina tabletteina.

Lisätietoja Votubian nykyisistä käyttöaiheista on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Mitä muutosta yhtiö haki?

Yhtiö haki Votubian käytön laajentamista niiden lasten, joiden ikä on 6 kk:n ja 2 vuoden välillä, tuberoosiskleroosiin liittyvien kohtausten hoitoon.

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



Miten Votubia vaikuttaa?

Votubian vaikuttava aine, everolimuusi, vaikuttaa estämällä entsyymiä nimeltä "rapamysiinin isäköskohde" (mTOR), jonka oletetaan vaikuttavan tuberoosiskleroosia sairastavilla potilailla esiintyviin kohtauksiin. Ei kuitenkaan täysin tiedetä, miten lääke vaikuttaa kohtausten estämisessä.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö ei tehnyt hakemuksensa tueksi tutkimusta lapsilla, joiden ikä on 6 kk:n ja 2 vuoden välillä, vaan arvioi sen sijaan matemaattisella mallilla, millainen pitoisuus Votubiaa näiden lasten veressä olisi, käyttämällä vanhemmilla lapsilla ja aikuisilla tehdyistä tutkimuksista saatuja tietoja.

Mitä olivat Euroopan lääkeviraston päätelmät?

Virasto totesi, että tämän mallin virhemarginaali oli liian laaja. Tämä tarkoittaa sitä, että mallin ennusteita asianmukaisesta annoksesta ei voitu pitää riittävän tarkkoina tukemaan Votubian käytön laajentamista pienempiin lapsiin (ikä 6 kk:n ja 2 vuoden välillä).

Vaikka Votubiaa ei siis hyväksytty käytettäväksi tässä ikäryhmässä, Votubian määräystietoja päivitetään lisäämällä niihin merkityksellistä tietoa.

Vaikuttaako tämä tulos kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei päätöksellä ole mitään seurauksia Votubian kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmaan osallistuville potilaille.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä klinisen tutkimuksen lääkäriin.