

24 juillet 2020
EMA/393579/2020
EMEA/H/C/002311/II/0061

Questions et réponses relatives à l'utilisation de Votubia chez les enfants à partir de l'âge de six mois

L'Agence européenne des médicaments a finalisé son évaluation de la demande d'extension de l'utilisation de Votubia au traitement de crises associées à la sclérose tubéreuse chez les enfants âgés de six mois et plus.

Bien qu'il n'ait pas recommandé cette extension, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'EMA a accepté que les données pertinentes issues de l'étude jointe à la demande soient incluses dans les informations sur le produit pour ce médicament.

Qu'est-ce que Votubia et dans quel cas est-il utilisé?

Votubia est un médicament utilisé pour le traitement des tumeurs bénignes (non cancéreuses) suivantes causées par la sclérose tubéreuse, une maladie génétique:

- astrocytome sous-épendymaire à cellules géantes (SEGA), une tumeur bénigne du cerveau, pour laquelle il est utilisé chez les adultes et les enfants dont la tumeur au cerveau ne peut être retirée chirurgicalement;
- angiomyolipome rénal, une tumeur bénigne des reins, pour laquelle il est utilisé chez les adultes qui risquent des complications, mais ne nécessitent pas de chirurgie immédiate.

Le médicament est également utilisé en tant que traitement d'appoint chez les patients âgés de plus de deux ans et souffrant d'épisodes (crises) liés à la sclérose tubéreuse qui n'ont pas répondu à d'autres traitements. Votubia est utilisé pour les crises partielles (crises qui débutent dans une partie du cerveau), qui peuvent s'étendre ou non dans l'intégralité du cerveau (généralisation secondaire).

Votubia contient la substance active évérolimus et est disponible sous la forme de comprimés à prendre par voie orale.

De plus amples informations sur les utilisations actuelles de Votubia sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Quelle modification la société avait-elle demandée?

La société a demandé l'extension de l'utilisation de Votubia au traitement des crises liées à la sclérose tubéreuse chez les enfants âgés de six mois à deux ans.

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



Comment Votubia agit-il?

La substance active de Votubia, l'évérolimus, agit en bloquant une enzyme appelée «mTOR» (mammalian target of rapamycin - cible de la rapamycine chez les mammifères), dont on pense qu'elle joue un rôle dans les crises qui surviennent chez les patients atteints de sclérose tubéreuse. Cependant, le mode d'action du médicament pour les prévenir n'est pas complètement élucidé.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

Pour justifier sa demande, la société n'a pas réalisé d'étude chez les enfants âgés de six mois à deux ans; au lieu de cela, elle a estimé à combien les taux sanguins de Votubia s'élèveraient chez ces enfants par un modèle mathématique sur la base de données issues d'études menées chez des adultes et des enfants plus âgés.

Quelles ont été les conclusions de l'EMA?

L'Agence a remarqué que la marge d'erreur de ce modèle était trop importante, ce qui signifie que les prédictions issues du modèle visant à définir la dose appropriée ne pouvaient pas être considérées comme suffisamment précises pour justifier l'extension de l'utilisation de Votubia à des enfants plus jeunes (âgés de six mois à deux ans).

Bien que, par conséquent, Votubia ne soit pas autorisé pour cette tranche d'âge, les informations sur la prescription de Votubia seront mises à jour pour inclure les données pertinentes.

Quelles sont les conséquences de cette décision pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients inclus dans des essais cliniques ou des programmes d'utilisation compassionnelle utilisant Votubia.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations supplémentaires sur votre traitement, contactez votre médecin.