



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pitanja i odgovori o primjeni lijeka Votubia u djece u dobi od 6 mjeseci i starije

Europska agencija za lijekove dovršila je procjenu zahtjeva za proširenje primjene lijeka Votubia na liječenje napadaja povezanih s tuberoznom sklerozom u djece u dobi od 6 mjeseci i starije.

Iako EMA-in Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) nije preporučio to proširenje, suglasan je s time da se relevantni podatci iz ispitivanja, navedeni u zahtjevu, uključe u informacije o lijeku.

Što je Votubia i za što se koristi?

Votubia je lijek za liječenje benignih (nekancerogenih) tumora u nastavku koje uzrokuje genetska bolest naziva tuberozna skleroza:

- subependimalnog astrocitoma orijaških stanica (SEGA), benignog tumora mozga, kad se koristi u odraslih i djece čiji se tumor ne može kirurški odstraniti
- renalnog angiomiolipoma, benignog tumora bubrega, kad se koristi u odraslih osoba izloženih riziku od komplikacija kojima nije potrebna hitna operacija.

Lijek se koristi i kao dodatna terapija u bolesnika u dobi od dvije godine i starijih s napadajima povezanim s tuberoznom sklerozom koji nisu odgovorili na druge terapije. Votubia se koristi kod djelomičnih napadaja (napadaja koji započnu u jednom dijelu mozga) koji se mogu ili ne moraju proširiti na cijeli mozak (sekundarna generalizacija).

Lijek Votubia sadrži djelatnu tvar everolimus i dostupan je u obliku tableta koje se uzimaju kroz usta.

Dodatne informacije o trenutačnim primjenama lijeka Votubia dostupne su na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Kakvu je izmjenu tvrtka zatražila?

Tvrtka je podnijela zahtjev za proširenje primjene lijeka Votubia na liječenje napadaja povezanih s tuberoznom sklerozom u djece u dobi od 6 mjeseci do 2 godine.



Kako djeluje Votubia?

Djelatna tvar u lijeku Votubia, everolimus, djeluje tako što blokira enzim naziva „ciljna molekula rapamicina u sisavaca“ (mTOR), za koji se smatra da ima ulogu u napadajima koji se pojavljuju u bolesnika s tuberoznom sklerozom, no nije potpuno jasno kako lijek djeluje da bi spriječio napadaje.

Što je tvrtka dostavila u prilog svojem zahtjevu?

U prilog svojem zahtjevu tvrtka nije provela ispitivanje među djecom u dobi od 6 mjeseci do 2 godine, već je razinu lijeka Votubia u krvi te djece procijenila na osnovi matematičkog modela koji sadržava podatke iz ispitivanja u kojima su sudjelovala starija djeca i odrasli.

Kakvi su zaključci EMA-e?

Agencija je napomenula da je margina pogreške u tom modelu bila preširoka, što znači da se predviđanja odgovarajuće doze dobivena na temelju tog modela ne mogu smatrati dovoljno preciznima kako bi se poduprla proširenje primjene lijeka Votubia na mlađu djecu (u dobi od 6 mjeseci do 2 godine).

Stoga se primjena lijeka Votubia neće odobriti za tu dobnu skupinu, no informacije za propisivanje lijeka Votubia ažurirat će se relevantnim podacima.

Ima li ovaj ishod posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja ili programe milosrdnog davanja lijekova u kojima se koristi lijek Votubia.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili programu milosrdnog davanja lijekova te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vas liječi.