



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kérdések és válaszok a Votubia 6 hónapos kor fölötti gyermekeknél történő alkalmazásával kapcsolatban

Az Európai Gyógyszerügynökség véglegesítette a Votubia alkalmazásának hat hónapos kor feletti gyermekeknél a szklerózis tuberózával összefüggő görcsrohamok kezelésére való kiterjesztésére vonatkozó kérelem értékelését.

Bár az EMA emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel foglalkozó bizottsága (CHMP) nem javasolta az alkalmazás kiterjesztését, úgy határozott, hogy a kérelemben benyújtott vizsgálatból származó releváns adatokat bele kell foglalni a gyógyszer kísérőirataiba.

Milyen típusú gyógyszer a Votubia és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Votubia-t a szklerózis tuberóza nevű genetikai betegség által okozott alábbi, jóindulatú (nem rákos) daganatok kezelésére alkalmazzák:

- szubependimális óriássejtes asztrocitóma (SEGA), egy jóindulatú agydaganat felnőtteknél és gyermekeknél, ha az agydaganat műtéti úton nem távolítható el;
- vese-angiomoliopóma nevű jóindulatú vesedaganat, olyan felnőtteknél, akik ki vannak téve a szövődmények kockázatának, azonban nincs szükségük azonnali műtetre.

A gyógyszert kiegészítő kezelésként is alkalmazzák olyan, legalább 2 éves betegeknek, akik a szklerózis tuberózával összefüggő görcsrohamokban szenvednek, és más kezelésekre nem reagáltak. A Votubia-t parciális (az agy egyik részében kezdődő), a teljes agyra áttérjedő (másodlagos generalizáció) vagy nem áttérjedő görcsrohamok esetén alkalmazzák.

A Votubia hatóanyaga az everolimusz, és szájon át bevehető tabletta formájában kapható.

A Votubia jelenlegi alkalmazásaira vonatkozó további információk az Ügynökség weboldalán találhatók: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Milyen módosítás iránti kérelmet nyújtott be a vállalat?

A vállalat a Votubia alkalmazásának kiterjesztésére vonatkozó kérelmet nyújtott be a szklerózis tuberózával összefüggő görcsrohamok kezelésére hat hónapos és két éves kor közötti gyermekeknél.

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



Hogyan fejti ki hatását a Votubia?

A Votubia hatóanyag, az everolimusz az „emlős rapamicin-célpont” (mTOR) nevű enzim gátlása révén fejti ki hatását, amelyről úgy vélik, szerepet játszik a szklerózis tuberózában szenvedő betegeknél kialakuló görcsrohamokban, azonban nem teljesen tisztázott, milyen módon előzi meg a gyógyszer ezeket a rohamokat.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat nem folytatott le vizsgálatot 6 hónapos és 2 éves kor közötti gyermekek körében a kérelem alátámasztására, hanem ehelyett egy, idősebb gyermekek és felnőttek részvételével lefolytatott vizsgálatokból származó adatokat felhasználó matematikai modell segítségével megbeccsülték, mekkora lenne a Votubia vérszintje az ilyen korú gyermekeknél.

Milyen következtetéseket vont le az EMA?

Az Ügynökség megjegyezte, hogy a modell hibahatára túlságosan nagy volt, vagyis a modell predikciói a megfelelő dózissra vonatkozóan nem tekinthetők kellően pontosnak ahhoz, hogy alátámasszák a Votubia alkalmazásának kiterjesztését fiatalabb (6 hónapos és 2 éves kor közötti) gyermekeknél való alkalmazásra.

Bár a Votubia-t emiatt nem fogják engedélyezni ebben a korcsoportban, a Votubia felírására vonatkozó információit aktualizálni fogják a releváns adatokkal.

Milyen következményekkel jár ez azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy nincs következmény a Votubia-val végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban részt vevő betegekre nézve.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban vesz részt és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.