

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

## Domande e risposte sull'uso di Votubia nei bambini a partire dai 6 mesi di età

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso la valutazione di una richiesta di estensione dell'uso di Votubia al trattamento delle crisi epilettiche (crisi convulsive) associate alla sclerosi tuberosa nei bambini a partire dai 6 mesi di età.

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMA, pur non avendo raccomandato tale estensione, ha autorizzato l'inclusione, nelle informazioni sul medicinale, dei dati pertinenti dello studio presentato insieme alla domanda.

### Cos'è Votubia e per cosa si usa?

Votubia è un medicinale usato per il trattamento dei seguenti tumori benigni (non cancerogeni) causati dalla malattia genetica sclerosi tuberosa:

- l'astrocitoma subependimale a cellule giganti (SEGA), un tumore benigno del cervello, per il quale è usato in adulti e bambini nei quali il tumore non può essere rimosso chirurgicamente;
- l'angiomiolipoma renale, un tumore benigno dei reni, per il quale è usato in adulti che sono a rischio di complicazioni ma nei quali non è necessario un immediato intervento chirurgico.

Il medicinale è utilizzato anche come trattamento aggiuntivo in pazienti dai 2 anni di età con crisi epilettiche correlate alla sclerosi tuberosa che non hanno risposto ad altre terapie. Votubia è impiegato per crisi a esordio parziale (crisi che cominciano in una parte del cervello), che possono o meno estendersi a tutto il cervello (generalizzazione secondaria).

Votubia contiene il principio attivo everolimus ed è disponibile sotto forma di compresse da assumere per via orale.

Maggiori informazioni sugli usi attuali di Votubia sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:  
[ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia).

### Quale variazione aveva richiesto la ditta?

La ditta ha richiesto di estendere l'uso di Votubia al trattamento delle crisi epilettiche associate alla sclerosi tuberosa nei bambini di età compresa tra 6 mesi e 2 anni.

---

**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



## **Come agisce Votubia?**

Il principio attivo di Votubia, everolimus, agisce bloccando un enzima denominato «bersaglio nei mammiferi della rapamicina» (mTOR), che si ritiene abbia un ruolo nelle crisi epilettiche in pazienti con sclerosi tuberosa. Tuttavia, il meccanismo con il quale il medicinale evita tali crisi non è pienamente compreso.

## **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

A sostegno della domanda la ditta non ha condotto uno studio su bambini di età compresa tra 6 mesi e 2 anni, bensì ha stimato quali sarebbero i livelli ematici di Votubia in tali soggetti mediante un modello matematico, utilizzando dati tratti da studi su bambini di età superiore e adulti.

## **Quali sono state le conclusioni dell'EMA?**

L'Agenzia ha osservato che il margine di errore del modello era troppo ampio, ossia che l'accuratezza delle previsioni relative alla dose appropriata risultanti dal modello non poteva essere considerata sufficiente per sostenere l'estensione dell'uso di Votubia a bambini di età inferiore (compresa tra 6 mesi e 2 anni).

Votubia non sarà pertanto autorizzato in questa fascia d'età. Nondimeno, le informazioni relative alla prescrizione del medicinale saranno aggiornate al fine di includere i dati pertinenti.

## **Tale risultato influisce sui pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?**

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o programmi di uso compassionevole con Votubia.

I partecipanti a studi clinici o programmi di uso compassionevole che necessitino di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il proprio medico.