



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020 m. liepos 24 d.
EMA/393579/2020
EMA/H/C/002311/II/0061

Klausimai ir atsakymai dėl Votubia skyrimo vaikams nuo 6 mėn. amžiaus

Europos vaistų agentūra (EMA) užbaigė paraiškos išplėsti Votubia vartojimo indikacijų sąrašą; Agentūros prašyta leisti šiuo vaistu gydyti vaikams nuo 6 mėnesių pasireiškiančius su tuberozine skleroze susijusius traukulius (priepuolius).

Nors EMA Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nerekomendavo įtraukti šios indikacijos į indikacijų sąrašą, komitete sutarta, kad į šio vaisto informacinius dokumentus reikia įtraukti atitinkamus duomenis, surinktus atliekant tyrimą, kuris buvo pateiktas kartu su paraiška.

Kas yra Votubia ir kam jis vartojamas?

Votubia – tai vaistas, kuriuo gydomi šie dėl genetinės ligos tuberozinės sklerozės išsivystę gerybiniai (nevėžiniai) augliai:

- subependiminė gigantinių ląstelių astrocitoma (SGLA, gerybinis galvos smegenų auglys) – vaistas skiriamas suaugusiesiems ir vaikams, kurių galvos smegenų auglio negalima pašalinti chirurginiu būdu;
- inkstų angiomiolipoma (gerybinis inkstų auglys) – vaistas skiriamas suaugusiesiems, kuriems kyla komplikacijų rizika, bet kurių nebūtina skubiai operuoti.

Vaistas taip pat skiriamas kaip papildomas vaistas kartu su kitais vaistais pacientams nuo 2 metų amžiaus, kuriems pasireiškia su tuberozine skleroze susiję traukuliai ir kurių gydymas kitais vaistais neveiksmingas. Votubia skiriamas gydant dalinius (vienoje galvos smegenų dalyje prasidedančius) traukulius, kurie gali išplisti arba neišplisti ir apimti visas galvos smegenis (antrinė generalizacija).

Votubia sudėtyje yra veikliosios medžiagos everolimuzo ir jis tiekiamas per burną vartojamų tablečių forma.

Daugiau informacijos apie šiuo metu patvirtintas Votubia vartojimo indikacijas rasite Agentūros tinklalapyje adresu: www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.



Dėl kokio pakeitimo bendrovė teikė paraišką?

Bendrovė paprašė leisti išplėsti Votubia vartojimo indikacijų sąrašą, kad šiuo vaistu taip pat būtų galima gydyti 6 mėn.–2 metų amžiaus vaikams pasireiškiančius su tuberozine skleroze susijusius traukulius.

Kaip veikia Votubia?

Votubia veikioji medžiaga everolimuzas veikia slopindamas fermentą, vadinamą žinduolių rapamicino taikiniu (angl. *mammalian target of rapamycin*, mTOR); manoma, kad jis atlieka svarbų vaidmenį sukeliant traukulius, kurie pasireiškia tuberozine skleroze sergantiems pacientams, bet dar neviseiškai ištirta, kaip šis vaistas užkerta kelią jų atsiradimui.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Siekdama pagrįsti savo paraišką, bendrovė, užuot atlikusi tyrimą su 6 mėn.–2 metų vaikais, pagal matematinį modelį apskaičiavo Votubia koncentraciją šio amžiaus vaikų kraujyje, naudodama duomenis, surinktus atliekant tyrimus su vyresnio amžiaus vaikais ir suaugusiais.

Kokios buvo EMA išvados?

Agentūra atkreipė dėmesį į tai, kad šio modelio paklaidos rėžis yra pernelyg didelis, t. y. modelio prognozės dėl vaisto koncentracijos pavartojus atitinkamą vaisto dozę nepakankamai tikslios, kad remiantis šiais duomenimis būtų galima leisti Votubia vartoti ir mažesniems (6 mėn.–2 metų) vaikams.

Nors dėl šios priežasties Votubia nebus leista vartoti šioje amžiaus grupėje, informacija apie Votubia skyrimo tvarką bus papildyta atitinkamais duomenimis.

Ar šios procedūros rezultatai turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad tai neturės jokių pasekmių klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose dalyvaujantiems, Votubia vartojantiems pacientams.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo gydytoju.