



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020. gada 24. jūlijs
EMA/393579/2020
EMA/H/C/002311/II/0061

Jautājumi un atbildes par *Votubia* lietošanu bērniem vecumā no 6 mēnešiem

Eiropas Zāļu aģentūra ir pabeigusi vērtēt pieteikumu par *Votubia* lietošanas indikāciju paplašināšanu, tajās iekļaujot tuberozās sklerozes lēkmju (krampju) ārstēšanu bērniem no sešu mēnešu vecuma.

Kaut gan EMA Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) neieteica šādi paplašināt indikācijas, tā vienotās zāļu informācijā iekļaut ar pieteikumu iesniegtos attiecīgos drošuma datus no pētījumiem.

Kas ir *Votubia* un kāpēc tās lieto?

Votubia ir zāles, ko lieto, lai ārstētu šādus labdabīgus (ne ļaundabīgus) audzējus, ko izraisījusi ģenētiska slimība tuberozā skleroze:

- subependimālo milzšūnu astrocitomu (*SEGA*), smadzeņu labdabīgo audzēju; šīs zāles lieto pieaugušajiem un bērniem, kuriem smadzeņu audzēju nav iespējams izņemt ķirurģiski;
- nieru angiomiolipomu, labdabīgu nieru audzēju; šīs zāles lieto pieaugušajiem ar komplikāciju risku, bet kuriem nav nepieciešama steidzama operācija.

Zāles arī lieto kā papildterapiju pacientiem no divu gadu vecuma ar tuberozās sklerozes izraisītiem krampjiem, kuri nav reaģējuši uz citiem ārstēšanas veidiem. *Votubia* lieto parciālo lēkmju gadījumā (lēkmes, kas sākas vienā smadzeņu daļā), kas var izplatīties vai neizplatīties visās smadzenēs (sekundāra ģeneralizācija).

Votubia satur aktīvo vielu everolīmu un ir pieejamas kā tabletes iekšķīgai lietošanai.

Sīkāku informāciju par *Votubia* pašreizējiem lietošanas veidiem skatīt aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Kādas izmaiņas uzņēmums pieteica?

Uzņēmums iesniedza pieteikumu, lai paplašinātu *Votubia* lietošanu, to attiecinot arī uz tuberozās sklerozes izraisītu lēkmju ārstēšanu bērniem vecumā no sešiem mēnešiem līdz diviem gadiem.

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



Kā *Votubia* darbojas?

Votubia aktīvā viela everolīms darbojas, bloķējot enzīmu, ko dēvē par "zīdītāju rapamicīna mērķi" (*mTOR*). Tiek uzskatīts, ka *mTOR* ietekmē krampjus, kas rodas tuberozās sklerozes pacientiem, bet vēl nav pilnīgi izprasts, kā zāles darbojas krampju novēršanā.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Lai pamatotu pieteikumu, uzņēmums nevis veica pētījumu ar bērniem vecumā no 6 mēnešiem līdz 2 gadiem, bet tā vietā to, kāds varētu būt *Votubia* līmenis asinīs šiem bērniem, noteica ar matemātisku modeli, izmantojot datus no pētījumiem ar vecākiem bērniem un pieaugušajiem.

Kādi bija *EMA* secinājumi?

Aģentūra norādīja, ka šī modeļa kļūdas robeža ir pārāk liela, tāpēc ar modeli iegūtās piemērotās devas prognozes nevar uzskatīt par pietiekami precīzām, lai pamatotu *Votubia* lietošanas indikāciju paplašināšanu, to attiecinot uz jaunākiem bērniem (vecumā no 6 mēnešiem līdz 2 gadiem).

Kaut gan *Votubia* lietošana šajā vecumā grupā tāpēc netiks apstiprināta, tiks atjaunināta informācija par *Votubia* izrakstīšanu, iekļaujot tajā attiecīgos datus.

Vai šis lēmums ietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka atteikums neietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās ar *Votubia*.

Ja Jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet savam ārstam.