



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 juli 2020
EMA/393579/2020
EMA/H/C/002311/II/0061

Vragen en antwoorden inzake het gebruik van Votubia bij kinderen vanaf zes maanden oud

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft zijn beoordeling afgerond van een aanvraag om het gebruik van Votubia uit te breiden tot de behandeling van epileptische aanvallen (toevallen) in verband met tubereuze sclerose bij kinderen vanaf zes maanden oud.

Hoewel het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het EMA deze uitbreiding niet heeft aanbevolen, heeft het er wel mee ingestemd dat relevante gegevens uit het onderzoek die bij de aanvraag werden ingediend, worden opgenomen in de productinformatie van het geneesmiddel.

Wat is Votubia en wanneer wordt het voorgeschreven?

Votubia is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van de volgende goedaardige tumoren (tumoren die geen kanker zijn) die door de genetische aandoening tubereuze sclerose worden veroorzaakt:

- subependymaal reuscelastrocytoom (SEGA), een goedaardige hersentumor. In dit geval wordt het middel gebruikt bij volwassenen en kinderen bij wie de hersentumor niet operatief kan worden verwijderd;
- renaal angiomyolipoom, een goedaardige niertumor. In dit geval wordt het middel gebruikt bij volwassenen die een risico op complicaties lopen maar niet meteen hoeven te worden geopereerd.

Het geneesmiddel wordt ook gebruikt als aanvullende behandeling bij patiënten van twee jaar en ouder met epileptische aanvallen die verband houden met tubereuze sclerose, wanneer deze patiënten niet op andere behandelingen hebben gereageerd. Votubia wordt gebruikt voor partieel beginnende aanvallen (aanvallen die in één deel van de hersenen ontstaan), die zich al dan niet tot het hele hersengebied kunnen uitbreiden (secundaire generalisatie).

Votubia bevat de werkzame stof everolimus en is verkrijgbaar in de vorm van tabletten voor inname via de mond.

Meer informatie over het huidige gebruik van Votubia is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.



Voor welke wijziging had de firma een aanvraag ingediend?

De firma diende een aanvraag in om het gebruik van Votubia voor de behandeling van epileptische aanvallen in verband met tubereuze sclerose uit te breiden tot kinderen tussen zes maanden en twee jaar oud.

Hoe werkt Votubia?

De werkzame stof in Votubia, everolimus, blokkeert een enzym genaamd 'zoogdierdoelwit van rapamycine' (mammalian target of rapamycin, mTOR), dat vermoedelijk een rol speelt bij aanvallen die voorkomen bij patiënten met tubereuze sclerose, maar het is niet precies bekend hoe het geneesmiddel werkt om deze te voorkomen.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

Ter ondersteuning van haar aanvraag voerde de firma geen onderzoek uit onder kinderen tussen zes maanden en twee jaar oud, maar schatte de firma in plaats daarvan met een rekenmodel wat de bloedconcentraties van Votubia bij deze kinderen zouden zijn aan de hand van gegevens uit onderzoeken die waren uitgevoerd bij oudere kinderen en volwassenen.

Wat waren de conclusies van het EMA?

Het Geneesmiddelenbureau merkte op dat de foutmarge van dit model te breed was, waardoor de voorspellingen van het model voor de juiste dosis niet als nauwkeurig genoeg konden worden beschouwd om uitbreiding van het gebruik van Votubia tot jongere kinderen (van zes maanden tot twee jaar oud) te ondersteunen.

Hoewel Votubia daarom niet zal worden goedgekeurd voor deze leeftijdsgroep, zullen in de voorschrijfinformatie voor Votubia relevante gegevens worden opgenomen.

Heeft deze uitkomst gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Votubia, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw arts.