



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 lipca 2020 r.
EMA/393579/2020
EMA/H/C/002311/II/0061

Pytania i odpowiedzi dotyczące stosowania leku Votubia u dzieci od 6. miesiąca życia

Europejska Agencja Leków zakończyła rozpatrywanie wniosku o rozszerzenie stosowania leku Votubia o leczenie napadów padaczkowych (drgawek) związanych ze stwardnieniem guzowatym u dzieci od 6. miesiąca życia.

Choć Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP), działający przy EMA, nie zalecił takiego rozszerzenia, to wyraził zgodę, aby w drukach informacyjnych produktu leczniczego zawrzeć dane z badania przytoczonego we wniosku.

Czym jest lek Votubia i w jakim celu się go stosuje?

Lek Votubia stosuje się w leczeniu następujących łagodnych (niezłośliwych) guzów wywoływanych przez chorobę genetyczną o nazwie stwardnienie guzowate:

- gwiaździak podwyściółkowy olbrzymiokomórkowy (SEGA) – lek stosuje się u dorosłych i dzieci, u których ten łagodny guz mózgu nie może być usunięty operacyjnie;
- naczyniakomięśniakotłuszczak (łagodny guz nerek) – lek stosuje się u dorosłych, u których istnieje ryzyko powikłań, lecz którzy nie wymagają pilnego leczenia operacyjnego.

Lek stosuje się także w ramach leczenia uzupełniającego u pacjentów od 2. roku życia z napadami padaczkowymi związanymi ze stwardnieniem guzowatym, u których nie wystąpiła odpowiedź na inne metody leczenia. Lek Votubia stosuje się w leczeniu częściowych napadów padaczkowych (napadów zaczynających się w jednej części mózgu), które mogą, choć nie muszą rozprzestrzenić się na cały mózg (napady wtórne uogólnione).

Lek Votubia zawiera substancję czynną ewerolimus i jest dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego.

Więcej informacji na temat obecnych zastosowań leku Votubia znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

O jaką zmianę wnioskowała firma?

Firma wnioskowała o rozszerzenie stosowania leku Votubia o leczenie napadów padaczkowych związanych ze stwardnieniem guzowatym u dzieci od 6. miesiąca do 2. roku życia.

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



Jak działa lek Votubia?

Substancja czynna leku Votubia, ewerolimus, działa przez blokowanie enzymu zwanego ssaczym celem rapamycyny (mTOR), który prawdopodobnie odgrywa rolę w powstawaniu napadów padaczkowych w przebiegu stwardnienia guzowatego, choć sposób, w jaki lek przeciwdziała tym napadom, nie został jeszcze w pełni poznany.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma nie przeprowadziła badania z udziałem dzieci między 6. miesiącem a 2. rokiem życia, ale oszacowała, jakie byłoby u nich stężenie leku Votubia we krwi. W tym celu wykorzystwała model matematyczny oraz dane z badań przeprowadzonych u starszych dzieci i osób dorosłych.

Jakie były wnioski EMA?

Agencja zauważyła, że margines błędu w wykorzystanym modelu jest zbyt duży, co oznacza, że przewidywań modelu co do właściwej dawki nie można uznać za wystarczająco wiarygodne, aby uzasadnić stosowanie leku Votubia u młodszych dzieci (od 6. miesiąca do 2. roku życia).

Zatem pomimo że lek Votubia nie będzie dopuszczony do stosowania w tej grupie wiekowej, jego druki informacyjne zostaną uzupełnione o odpowiednie informacje.

Jakie są skutki takiej decyzji dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy z użyciem produktu Votubia.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.