



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Întrebări și răspunsuri privind utilizarea Votubia la copii începând cu vârsta de 6 luni

Agenția Europeană pentru Medicamente a încheiat evaluarea cererii de extindere a utilizării Votubia pentru tratamentul episoadelor convulsive (crize) asociate sclerozei tuberoase la copii începând cu vârsta de șase luni.

Deși nu a recomandat această extindere, comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al EMA a fost de acord ca anumite date relevante din studiul prezentat împreună cu cererea să fie incluse în informațiile referitoare la medicament.

Ce este Votubia și pentru ce se utilizează?

Votubia este un medicament care se utilizează pentru tratarea următoarelor tumori benigne (necanceroase) cauzate de boala genetică numită scleroză tuberoasă:

- astrocitom subependimal cu celule gigante (ASCG), o tumoare benignă a creierului, caz în care se utilizează la adulți, copii și adolescenți la care tumoarea cerebrală nu poate fi îndepărtată pe cale chirurgicală;
- angiomiolipom renal, o tumoare benignă a rinichilor, caz în care se utilizează la adulți expuși riscului de complicații, dar care nu necesită operație chirurgicală imediată.

Medicamentul se utilizează și ca tratament adjuvant la pacienți cu vârsta de cel puțin 2 ani care au episoade convulsive asociate cu scleroza tuberoasă și care nu au răspuns la alte tratamente. Votubia se utilizează pentru episoadele convulsive parțiale (episoade convulsive care încep într-o parte a creierului), cu sau fără generalizare secundară (când convulsiile ajung să afecteze întregul creier).

Votubia conține substanța activă everolimus și este disponibil sub formă de comprimate cu administrare orală.

Informații suplimentare privind utilizările actuale ale Votubia sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Ce modificare solicitase compania?

Compania solicitase extinderea utilizării Votubia pentru tratamentul episoadelor convulsive asociate cu scleroza tuberoasă la copii cu vârsta între șase luni și doi ani.

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



Cum acționează Votubia?

Substanța activă din Votubia, everolimus, acționează blocând enzima numită „ținta rapamicinei la mamifere” (mTOR), despre care se consideră că are un rol în episoadele convulsive care apar la pacienții cu scleroză tuberoasă, dar modul în care medicamentul acționează în prevenirea acestor crize nu este pe deplin cunoscut.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

În sprijinul cererii sale, compania nu a efectuat un studiu la copii cu vârsta între 6 luni și 2 ani, ci a estimat printr-un model matematic care ar fi concentrația de Votubia în sânge la acești copii, utilizând date din studii efectuate la copii mai mari, la adolescenți și la adulți.

Care au fost concluziile EMA?

Agenția a remarcat că marja de eroare a acestui model este prea mare, ceea ce înseamnă că predicțiile modelului privind doza corespunzătoare nu pot fi considerate suficient de exacte pentru a sprijini extinderea utilizării Votubia la copii mai mici (cu vârsta între 6 luni și 2 ani).

Prin urmare, deși Votubia nu va fi autorizat la această categorie de vârstă, informațiile de prescriere pentru Votubia vor fi actualizate astfel încât să includă datele relevante.

Rezultatul acesta afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Votubia.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă tratează.