



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. júla 2020
EMA/393579/2020
EMA/H/C/002311/II/0061

Otázky a odpovede týkajúce sa používania lieku Votubia u detí vo veku od šiestich mesiacov

Európska agentúra pre lieky ukončila posudzovanie žiadosti o rozšírenie používania lieku Votubia na liečbu záchvatov (kŕčov) súvisiacich s tuberóznou sklerózou u detí vo veku od šiestich mesiacov.

Hoci Výbor pre humánne lieky (CHMP) agentúry EMA neodporučil toto rozšírenie, súhlasil, aby boli relevantné údaje zo štúdie predložené so žiadosťou uvedené v informáciách o lieku.

Čo je liek Votubia a na čo sa používa?

Liek Votubia sa používa na liečbu týchto benígnych (nezhubných) nádorov zapríčinených genetickou chorobou nazývanou tuberózna skleróza:

- subependymálny obrovskobunkový astrocytóm (SEGA), čo je benígny mozgový nádor u dospelých a detí, ktorý sa nedá chirurgicky odstrániť,
- renálny angiomyolipóm, čo je benígny nádor obličiek u dospelých, pri ktorom hrozí riziko vzniku komplikácií, ale bez potreby okamžitého chirurgického zákroku.

Liek sa takisto používa ako prídavná liečba u pacientov vo veku od 2 rokov so záchvatmi súvisiacimi s tuberóznou sklerózou, ktorí neodpovedali na iné lieky. Liek Votubia sa používa pri parciálnych záchvatoch (záchvatoch, ktoré sa začínajú v jednej časti mozgu), ktoré sa môžu, ale nemusia, rozšíriť do celého mozgu (sekundárna generalizácia).

Liek Votubia obsahuje liečivo everolimus a je k dispozícii vo forme tabliet, ktoré sa užívajú ústami.

Viac informácií o súčasných použitíach lieku Votubia sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

O akú zmenu spoločnosť požiadala?

Spoločnosť požiadala o rozšírenie používania lieku Votubia na liečbu záchvatov súvisiacich s tuberóznou sklerózou u detí vo veku od šiestich mesiacov do dvoch rokov.



Akým spôsobom liek Votubia účinkuje?

Liečivo lieku Votubia, everolimus, účinkuje tak, že blokuje enzým nazývaný cicavčia cieľová kináza rapamycínu (mTOR), ktorý zrejme zohráva úlohu pri záchvatoch, ktoré sa objavujú u pacientov s tuberóznou sklerózou, nie je však úplne známe, ako liek účinkuje proti týmto záchvatom.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť nevykonala na podporu svojej žiadosti štúdiu u detí vo veku od 6 mesiacov do 2 rokov, ale namiesto toho odhadla, aké by boli hladiny lieku Votubia v krvi u týchto detí pomocou matematického modelu s použitím údajov zo štúdií vykonaných na starších deťoch a dospelých.

Aké boli závery agentúry EMA?

Agentúra konštatovala, že chybovosť tohto modelu je príliš veľká, čo znamená, že jeho predpoklady týkajúce sa primeranej dávky sa nemôžu považovať za dosť presné na podporu rozšírenia používania lieku Votubia u malých detí (vo veku od 6 mesiacov do 2 rokov).

Hoci sa liek Votubia nepovolí na uvedenie na trh pre túto vekovú skupinu, informácie o predpisovaní lieku Votubia sa budú aktualizovať na účely zahrnutia relevantných údajov.

Má tento výsledok nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach lieku Votubia alebo na programoch na použitie tohto lieku v naliehavých prípadoch, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.