



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori o uporabi zdravila Votubia pri otrocih, starejših od šest mesecev

Evropska agencija za zdravila je dokončala oceno vloge za razširitev uporabe zdravila Votubia na zdravljenje napadov, povezanih s tuberozno sklerozo pri otrocih, starejših od šest mesecev.

Čeprav Odbor za zdravila pri agenciji EMA (CHMP) ni priporočil razširitve te uporabe, se je strinjal, da se v informacije o zdravilu za to zdravilo vključijo pomembni podatki o varnosti iz študije, predložene v vlogi.

Kaj je zdravilo Votubia in za kaj se uporablja?

Votubia je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje naslednjih benignih (nerakavih) tumorjev, ki jih povzroča genetska bolezen, imenovana tuberozna skleroza:

- subependimskega gigantoceličnega astrocitoma (SEGA), tj. benignega možganskega tumorja, pri odraslih in otrocih, pri katerih tumorjev ni mogoče odstraniti s kirurškim posegom;
- ledvičnega angiomiolipoma, tj. benignega tumorja ledvic, pri odraslih, ki so izpostavljeni tveganju za pojav zapletov, vendar takojšnji kirurški poseg pri njih ni potreben.

Zdravilo se uporablja tudi kot dodatek k zdravljenju pri bolnikih od drugega leta starosti z napadi, povezanimi s tuberozno sklerozo, ki se niso odzvali na druga zdravljenja. Zdravilo Votubia se uporablja za napade parcialnega izvora (napade, ki se začnejo v enem delu možganov), ki se lahko razširijo na celotne možgane (sekundarna generalizacija) ali ne.

Zdravilo Votubia vsebuje učinkovino everolimus in je na voljo v obliki tablet, ki se jemljejo peroralno.

Več informacij o trenutnih uporabah zdravila Votubia je na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Za katero spremembo je podjetje zaprosilo?

Podjetje je zaprosilo za razširitev uporabe zdravila Votubia pri zdravljenju napadov, povezanih s tuberozno sklerozo, na otroke, stare od šest mesecev do dveh let.

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



Kako zdravilo Votubia deluje?

Učinkovina zdravila Votubia, everolimus, deluje tako, da zavira delovanje encima, imenovanega „tarča rapamicina pri sesalcih“ (mTOR), ki naj bi imel vlogo pri napadih, ki se pojavijo pri bolnikih s tuberozno sklerozo, vendar ni v celoti razumljeno, kako jih zdravilo prepreči.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje v podporo svoji vlogi ni izvedlo študije pri otrocih, starih od šest mesecev do dveh let, vendar je namesto tega z matematičnim modelom, ki uporablja podatke iz študij, izvedenih pri starejših otrocih in odraslih, ocenilo, kakšne bi bile ravni zdravila Votubia v krvi pri teh otrocih.

Kakšni so bili zaključki agencije EMA?

Agencija je upoštevala, da je bila toleranca pri tem modelu zastavljena preširoko, kar pomeni, da predvidevanje ustreznega odmerka s pomočjo modela ni dovolj natančno, da bi podprli razširitev uporabe zdravila Votubia na mlajše otroke (stare od šest mesecev do dveh let).

Čeprav zdravilo Votubia zato pri tej starostni skupini ne bo odobreno, bodo informacije o predpisovanju zdravila Votubia posodobljene z ustreznimi podatki.

Kakšne so posledice zavrnitve za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je obvestilo agencijo, da zavrnitev nima posledic za bolnike, vključene v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe zdravila Votubia.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika.