



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Frågor och svar om användning av Votubia till barn från 6 månaders ålder

Europeiska läkemedelsmyndigheten har avslutat sin bedömning av en ansökan om utökad användning av Votubia till att även omfatta behandling av anfall vid tuberös skleros hos barn från sex månaders ålder.

Även om EMA:s kommitté för humanläkemedel (CHMP) inte rekommenderade denna utökning enades kommittén om att relevanta data från studien, inlämnade tillsammans med ansökan, ska läggas till i produktinformationen för läkemedlet.

Vad är Votubia och vad används det för?

Votubia är ett läkemedel som används för att behandla följande godartade (icke-cancerösa) tumörer som orsakas av den genetiska sjukdomen tuberös skleros:

- subependymalt jättecellsastrocytom (SEGA), en godartad hjärntumör, där läkemedlet ges till vuxna och barn vars hjärntumör inte kan opereras bort,
- renalt angiomyolipom, en godartad tumör i njurarna, där läkemedlet ges till vuxna som löper risk att få komplikationer men inte behöver opereras akut.

Läkemedlet ges också som tilläggsbehandling till patienter från 2 års ålder som får anfall på grund av tuberös skleros, vilka inte har svarat på andra behandlingar. Votubia används för behandling av partiella anfall (anfall som startar i en del av hjärnan) som ibland sprider sig till hela hjärnan (sekundär generalisering).

Votubia innehåller den aktiva substansen everolimus och finns som tabletter som ska sväljas.

Mer information om Votubias nuvarande användning finns på myndighetens webbplats:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/votubia.

Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte om utökad användning av Votubia för behandling av anfall vid tuberös skleros hos barn i åldern 6 månader till 2 år.

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



Hur verkar Votubia?

Den aktiva substansen i Votubia, everolimus, verkar genom att blockera ett enzym som kallas mTOR (*mammalian target of rapamycin*), som man tror är av betydelse för de anfall som förekommer hos patienter med tuberös skleros. Det är dock inte helt klarlagt på vilket sätt läkemedlet förhindrar anfallen.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget hade inte utfört någon studie på barn mellan 6 månader och 2 år för att stödja sin ansökan, utan hade i stället gjort en beräkning av vad halten av Votubia i blodet hos dessa barn skulle bli med hjälp av en matematisk modell där man använde data från studier som gjorts på äldre barn och vuxna.

Vilka slutsatser drog EMA?

EMA noterade att felmarginalen i denna modell var alltför stor, vilket innebär att modellens förutsägelser för vad som är en lämplig dos inte kunde anses vara tillräckligt exakta för att stödja en utökad användning av Votubia hos yngre barn (6 månader till 2 år).

Votubia kommer därför inte att godkännas för denna åldersgrupp, men förskrivningsinformationen för Votubia kommer trots detta att uppdateras med relevanta data.

Påverkar detta resultat patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Votubia.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta din läkare.