



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/191061/2021  
EMA/H/C/004675

## Epidyolex (*Cannabidiol*)

Übersicht über Epidyolex und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Epidyolex und wofür wird es angewendet?

Epidyolex ist ein Arzneimittel, das zusätzlich zu Clobazam zur Behandlung von Patienten ab einem Alter von zwei Jahren angewendet wird, die am Lennox-Gastaut-Syndrom oder Dravet-Syndrom leiden. Es wird außerdem zusammen mit anderen Epilepsie-Arzneimitteln zur Behandlung von Tuberöser Sklerose (TSC) bei Patienten ebenfalls ab einem Alter von zwei Jahren angewendet. Diese beiden seltenen Arten von Epilepsie beginnen in der Kindheit und können bis ins Erwachsenenalter andauern. Zu den Symptomen dieser Erkrankungen gehören mehrere Formen von Anfällen, eine abnorme elektrische Aktivität im Gehirn, Lernbehinderung und Verhaltensprobleme.

Diese Krankheiten sind „selten“, und Epidyolex wurde als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zu den Ausweisungen als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ([Dravet-Syndrom](#): 15. Oktober 2014; [Lennox-Gastaut-Syndrom](#): 20. März 2017; [Tuberöse Sklerose](#): 17. Januar 2018).

Epidyolex enthält den Wirkstoff Cannabidiol.

### Wie wird Epidyolex angewendet?

Epidyolex ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt mit Erfahrung in der Behandlung von Epilepsie eingeleitet und überwacht werden.

Epidyolex ist als Flüssigkeit erhältlich, wobei jeder ml 100 mg Cannabidiol enthält. Es sollte möglichst immer entweder mit einer oder ohne eine Mahlzeit eingenommen werden. Die empfohlene Anfangsdosis beträgt zweimal täglich 2,5 mg pro Kilogramm Körpergewicht. Die Dosen werden mit einer mit dem Arzneimittel gelieferten Spritze gemessen und oral verabreicht. Nach einer Woche sollte die Dosis auf zweimal täglich 5 mg/kg erhöht werden. Je nach individuellem Ansprechen und Verträglichkeit des Arzneimittels kann der Arzt die Dosis schrittweise bis zu einer Höchstdosis von zweimal täglich 10 mg/kg bei Dravet- und bei Lennox-Gastaut-Syndrom und von zweimal täglich 12,5 mg/kg bei TSC erhöhen. Weitere Informationen zur Anwendung von Epidyolex entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Wie wirkt Epidyolex?

Obwohl die Wirkungsweise des Arzneimittels nicht genau bekannt ist, wird angenommen, dass der Wirkstoff in Epidyolex, Cannabidiol, auf Ziele wirkt, die eine Rolle bei der Bewegung von Kalzium in den Zellen spielen. Da dies für die Übertragung von elektrischen Signalen in einigen Nervenzellen wichtig ist und die Anfälle durch eine übermäßige elektrische Aktivität im Gehirn verursacht werden, ist davon auszugehen, dass die Veränderung der Bewegung von Kalzium die Anfälle bei Patienten mit dem Lennox-Gastaut-Syndrom, dem Dravet-Syndrom oder TSC verringert oder verhindert. Es wird auch angenommen, dass Cannabidiol auf Adenosin wirkt, einen chemischen Botenstoff im Gehirn, der eine wichtige Rolle bei der Unterdrückung von Anfällen spielt.

## Welchen Nutzen hat Epidyolex in den Studien gezeigt?

In fünf Studien, an denen über 900 Patienten mit dem Lennox-Gastaut-, dem Dravet-Syndrom oder TSC teilnahmen, zeigte sich, dass Epidyolex bei zusätzlicher Anwendung zur Behandlung mit anderen Epilepsie-Arzneimitteln die Zahl der Anfälle nach 14 bis 16 Behandlungswochen verringerte.

In den ersten zwei Studien verringerte sich bei Patienten mit dem Lennox-Gastaut-Syndrom, die Epidyolex zusammen mit Clobazam einnahmen, die Zahl der Sturzattacken (kurzer Verlust des Muskeltonus und Bewusstseinsminderung, was zu plötzlichem Hinfallen führt) um bis zu 64 %, im Vergleich zu bis zu 31 % bei Patienten, die zusammen mit Clobazam Placebo (eine Scheinbehandlung) erhielten.

In zwei weiteren Studien bei Patienten mit dem Dravet-Syndrom verringerte sich die Zahl der konvulsiven Anfälle (schwere Anfälle mit Bewusstseinsverlust) um bis zu 61 % bei Patienten, die Epidyolex und Clobazam einnahmen, und um bis zu 38 % bei Patienten unter Placebo und Clobazam.

In einer fünften Studie verringerte sich bei Patienten mit TSC unter Epidyolex bei der Höchstdosis von 25 mg/kg/Tag die Zahl der Anfälle um 49 %, verglichen mit einer Verringerung von 27 % bei Patienten unter Placebo.

## Welche Risiken sind mit Epidyolex verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Epidyolex (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Somnolenz (Schläfrigkeit), verminderter Appetit, Diarrhö (Durchfall), Fieber, Müdigkeit und Erbrechen. Die häufigste Ursache für den Abbruch der Behandlung waren erhöhte Leberenzymwerte im Blut (ein Anzeichen für Leberprobleme). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Epidyolex berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Epidyolex darf nicht bei Patienten angewendet werden, bei denen die Leberenzymwerte im Blut um das Dreifache und die Bilirubinwerte (ein anderer Marker für Leberprobleme) um das Zweifache höher als die Normalwerte sind. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## Warum wurde Epidyolex in der EU zugelassen?

Die Hauptstudien zeigten, dass Epidyolex die Zahl der Anfälle bei Patienten mit dem Lennox-Gastaut-, Dravet-Syndrom oder TSC, die ein anderes Epilepsie-Arzneimittel einnehmen, wirksam verringert. In Bezug auf die Sicherheit ist die Behandlung mit Epidyolex mit einem erhöhten Risiko für Leberprobleme verbunden. Dieses Risiko kann durch Einschränkungen und eine regelmäßige Untersuchung der Leber beherrscht werden und wird angesichts der Schwere der Erkrankungen und der fehlenden Behandlungsmöglichkeiten als akzeptabel erachtet. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte

daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Epidyolex gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

### **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Epidyolex ergriffen?**

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Epidyolex, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Epidyolex kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Epidyolex werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

### **Weitere Informationen über Epidyolex**

Epidyolex erhielt am 19. September 2019 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Epidyolex finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex).

Diese Übersicht wurde zuletzt im 03-2021 aktualisiert.