



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epidyolex (*cannabidiol*)

En oversigt over Epidyolex, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Epidyolex, og hvad anvendes det til?

Epidyolex er et lægemiddel, der anvendes sammen med clobazam til behandling af patienter fra toårsalderen, der har Lennox-Gastauts syndrom eller Dravet-syndrom. Det anvendes desuden til behandling af tuberøs sklerose sammen med andre epilepsi-behandlinger hos patienter fra to år og derover. Disse er sjældne typer epilepsi, der begynder i barndommen og kan fortsætte ind i voksenalderen. Symptomerne omfatter forskellige typer anfald, unormal elektrisk aktivitet i hjernen, indlæringsvanskeligheder og adfærdsproblemer.

Disse sygdomme er sjældne, og Epidyolex blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme". Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes på Det Europæiske Lægemiddelagenturs websted under: ([Dravet-syndrom](#): 15. oktober 2014, [Lennox-Gastauts syndrom](#): 20. marts 2017, [tuberøs sklerose](#): 17. januar 2018).

Epidyolex indeholder det aktive stof cannabidiol.

Hvordan anvendes Epidyolex?

Epidyolex fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af epilepsi.

Epidyolex fås som en væske, der indeholder 100 mg cannabidiol pr. ml. Det tages enten med eller uden mad, dog altid på samme måde. Den anbefalede startdosis er 2,5 mg pr. kg legemsvægt to gange dagligt. Doserne afmåles og gives gennem munden med en sprøjte, der leveres med lægemidlet. Efter én uge bør dosis øges til 5 mg to gange dagligt. Afhængigt af den enkeltes respons og af, hvor godt lægemidlet tolereres, kan lægen gradvist forhøje dosen op til højst 10 mg/kg to gange dagligt ved Dravet-syndrom og Lennox-Gastauts syndrom og op til 12,5 mg/kg to gange dagligt ved tuberøs sklerose. Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Epidyolex, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Epidyolex?

Det vides ikke nøjagtigt, hvordan Epidyolex virker, men det aktive stof, cannabidiol, menes at påvirke mål, der har indflydelse på calciums bevægelse rundt i cellerne. Da dette er vigtigt for transmissionen af elektriske signaler i visse nerveceller, og da anfald skyldes overdreven elektrisk aktivitet i hjernen,

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



forventes ændringen af calciummets bevægelse at reducere eller forhindre anfald hos patienter med Lennox-Gastauts syndrom, Dravet-syndrom eller tuberøs sklerose. Cannabidiol menes også at virke på adenosin, et kemisk signalstof i hjernen, som spiller en vigtig rolle mht. at forhindre anfald.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Epidyolex?

Fem studier af over 900 patienter med Lennox-Gastauts syndrom, Dravet-syndrom eller tuberøs sklerose viste, at Epidyolex nedsatte antallet af anfald, når det blev tilføjet til behandling med andre epilepsilægemidler efter 14-16 ugers behandling.

I de første to studier oplevede de patienter med Lennox-Gastauts syndrom, der fik Epidyolex i kombination med clobazam, en reduktion på op til 64 % i antallet af atoniske anfald (kort tab af muskeltonus og nedsat bevidsthed, der forårsager et pludseligt fald) sammenlignet med en reduktion på op til 31 % for de patienter, der fik placebo (en uvirksom behandling) sammen med clobazam.

I to andre studier hos patienter med Dravet-syndrom blev antallet af anfald (store anfald med bevidsthedstab) reduceret med op til 61 % for patienter, der fik Epidyolex og clobazam, og med op til 38 % for patienter, der fik placebo og clobazam.

I et femte studie oplevede de patienter, der fik Epidyolex i en maksimal dosis på 25/mg/kg/dag, et fald på 49 % i antallet af anfald sammenlignet med 27 % hos de patienter, der fik placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Epidyolex?

De hyppigste bivirkninger ved Epidyolex (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er søvnighed (somnolens), nedsat appetit, diarré, træthed og opkast. Den hyppigste årsag til at stoppe behandlingen var forhøjet indhold af leverenzymmer i blodet (et tegn på leverproblemer). Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Epidyolex fremgår af indlægssedlen.

Epidyolex må ikke anvendes til patienter, hvis indhold af leverenzymmer i blodet ligger over tre gange det normale, og som også har over to gange den normale mængde bilirubin (en anden markør for leverproblemer). Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Epidyolex godkendt i EU?

Hovedstudierne viste, at Epidyolex er effektivt til at mindske antallet af anfald hos patienter med Lennox-Gastauts syndrom, Dravet-syndrom eller tuberøs sklerose, som tager et andet epilepsilægemiddel. Med hensyn til sikkerheden er behandling med Epidyolex forbundet med en øget risiko for leverproblemer. Denne risiko kan håndteres med begrænsninger og regelmæssig kontrol af leveren og anses for at være acceptabel i betragtning af sygdommens alvorlige karakter og manglen på behandlinger. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Epidyolex opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Epidyolex?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Epidyolex.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Epidyolex løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Epidyolex vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Epidyolex

Epidyolex fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 19. september 2019.

Yderligere information om Epidyolex findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 03-2021.