



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/428834/2019
EMA/H/C/004675

Epidyolex (*cannabidiol*)

Een overzicht van Epidyolex en waarom het geregistreerd is in de EU

Wat is Epidyolex en wanneer wordt het voorgeschreven?

Epidyolex is een geneesmiddel dat naast clobazam (een ander geneesmiddel tegen epilepsie) wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten vanaf twee jaar oud met het syndroom van Lennox-Gastaut of het syndroom van Dravet, zeldzame epilepsietypes die tijdens de kinderjaren beginnen en tot in de volwassenheid kunnen voortduren.

Symptomen omvatten diverse soorten aanvallen, een abnormale elektrische activiteit in de hersenen en leer- en gedragsproblemen.

Deze aandoeningen zijn zeldzaam en Epidyolex werd aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ([syndroom van Dravet](#): 15 oktober 2014; [syndroom van Lennox-Gastaut](#): 20 maart 2017).

Epidyolex bevat de werkzame stof cannabidiol.

Hoe wordt Epidyolex gebruikt?

Epidyolex is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts met ervaring in de behandeling epilepsie.

Epidyolex is verkrijgbaar in de vorm van een vloeistof die 100 mg cannabidiol per ml bevat. Het middel dient consequent ofwel met, ofwel zonder voedsel te worden ingenomen. De aanbevolen startdosis is tweemaal daags 2,5 mg per kilogram lichaamsgewicht. Doses worden afgemeten en via de mond toegediend met een daartoe bestemde spuit die bij het geneesmiddel wordt meegeleverd. Na één week dient de dosis te worden verhoogd naar een onderhoudsdosis van tweemaal daags 5 mg/kg. Afhankelijk van de individuele respons en hoe goed het geneesmiddel wordt verdragen, kan de arts de dosis geleidelijk verhogen naar maximaal 10 mg/kg tweemaal daags.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Epidyolex.

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



Hoe werkt Epidyolex?

Hoewel niet duidelijk is hoe het middel precies werkt, wordt aangenomen dat de werkzame stof in Epidyolex, cannabidiol, inwerkt op doelwitten die een rol spelen bij de verplaatsing van calcium in de cellen. Aangezien dit belangrijk is voor de overdracht van elektrische signalen in sommige zenuwcellen, en epileptische aanvallen worden veroorzaakt door overmatige elektrische activiteit in de hersenen, zal het veranderen van de verplaatsing van calcium de aanvallen bij patiënten met het syndroom van Lennox-Gastaut of het syndroom van Dravet naar verwachting voorkomen of verminderen. Aangenomen wordt ook dat cannabidiol inwerkt op adenosine, een chemische boodschapper in de hersenen die een belangrijke rol speelt bij het onderdrukken van aanvallen.

Welke voordelen bleek Epidyolex tijdens de studies te hebben?

In vier studies onder 715 patiënten met het syndroom van Lennox-Gastaut of het syndroom van Dravet werd gekeken naar het effect van Epidyolex bij toevoeging aan behandeling met andere geneesmiddelen tegen epilepsie. Hieruit bleek dat Epidyolex het aantal aanvallen bij patiënten die ook clobazam innamen na 14 weken had verminderd.

In de eerste twee studies was bij patiënten met het syndroom van Lennox-Gastaut die Epidyolex in combinatie met clobazam innamen sprake van een afname van maximaal 64% van het aantal valaanvallen (kort verlies van spiertonus en verminderd bewustzijn, met plotseling vallen als gevolg), tegenover een afname van maximaal 31% voor patiënten die een placebo (een schijnbehandeling) met clobazam kregen.

In de twee andere studies bij patiënten met het syndroom van Dravet nam het aantal convulsieve aanvallen (ernstige aanvallen met verlies van bewustzijn) tot 61% af voor patiënten die Epidyolex en clobazam innamen, en tot 38% af voor patiënten die een placebo en clobazam gebruikten.

Welke risico's houdt het gebruik van Epidyolex in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Epidyolex (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn slaperigheid, verminderde eetlust, diarree, koorts, vermoeidheid en braken. De meest voorkomende reden voor het stopzetten van de behandeling was een verhoogde bloedconcentratie van leverenzymen (een teken van leverproblemen). Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Epidyolex.

Epidyolex mag niet worden gebruikt bij patiënten van wie de bloedconcentratie van leverenzymen meer dan drie keer de normale grens is en die ook een concentratie bilirubine (een andere indicator van leverproblemen) hebben die meer dan tweemaal de normale grens is. Zie de bijsluiters voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

Waarom is Epidyolex geregistreerd in de EU?

Uit de hoofdstudies is gebleken dat Epidyolex effectief is bij het verlagen van het aantal aanvallen bij patiënten met het syndroom van Lennox-Gastaut en het syndroom van Dravet die clobazam innemen. Wat betreft de veiligheid wordt behandeling met Epidyolex geassocieerd met een verhoogd risico op leverproblemen. Dit risico kan worden beheerst met beperkingen en regelmatige levercontrole en wordt aanvaardbaar geacht, gezien de ernst van de aandoeningen en het gebrek aan behandelingen. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Epidyolex groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Epidyolex te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Epidyolex, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Epidyolex continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Epidyolex worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Epidyolex

Meer informatie over Epidyolex is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex.