



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epidyolex (*kannabidiol*)

Przegląd wiedzy na temat leku Epidyolex i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Epidyolex i w jakim celu się go stosuje

Epidyolex jest lekiem stosowanym w skojarzeniu z klobazamem w leczeniu pacjentów w wieku od 2 lat z zespołem Lennox-Gastauta lub z zespołem Dravet. Stosowany jest również w leczeniu stwardnienia guzowatego (ang. tuberous sclerosis complex, TSC) w skojarzeniu z innymi lekami przeciwpadaczkowymi u pacjentów również w wieku od 2 lat. Są to rzadkie rodzaje padaczki, które rozpoczynają się w wieku dziecięcym i mogą utrzymywać się w życiu dorosłym. Objawy tych chorób obejmują wiele rodzajów napadów padaczkowych (drgawek), nieprawidłową aktywność elektryczną w mózgu, upośledzenie funkcji poznawczych i problemy behawioralne.

Ze względu na to, że choroby te rzadko występują, lek Epidyolex uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków: ([zespół Dravet](#): 15 października 2014 r.; [zespół Lennox-Gastauta](#): 20 marca 2017 r.; [stwardnienie guzowate](#): 17 stycznia 2018 r.).

Substancją czynną zawartą w leku Epidyolex jest kannabidiol.

Jak stosować lek Epidyolex

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien wprowadzić i nadzorować lekarz doświadczony w leczeniu padaczki.

Epidyolex jest dostępny w postaci płynu zawierającego 100 mg kannabidiolu na ml. Lek należy przyjmować regularnie albo w trakcie posiłków, albo między posiłkami. Zalecana dawka początkowa wynosi 2,5 mg na kilogram masy ciała przyjmowana dwa razy na dobę. Dawki są odmierzane i podawane doustnie za pomocą strzykawki dołączonej do leku. Po upływie tygodnia dawkę należy zwiększyć do 5 mg/kg dwa razy na dobę. W zależności od indywidualnej odpowiedzi i tolerancji leku lekarz może stopniowo zwiększać dawkę maksymalnie do 10 mg/kg dwa razy na dobę w przypadku zespołów Dravet i Lennox-Gastauta oraz do 12,5 mg/kg dwa razy na dobę w leczeniu TSC. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Epidyolex znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Epidyolex

Choć mechanizm działania nie jest w pełni znany, uważa się, że substancja czynna leku Epidyolex, kannabidiol, oddziałuje na receptory docelowe, które odgrywają rolę w przepływie wapnia w komórkach. Ponieważ jest to istotne dla przekazywania sygnałów elektrycznych w niektórych komórkach nerwowych, a napady są spowodowane nadmierną aktywnością elektryczną mózgu, zmiana przepływu wapnia powinna zmniejszyć liczbę napadów padaczkowych lub im zapobiegać u pacjentów z zespołem Lennox-Gastauta, zespołem Dravet lub TSC. Uważa się również, że kannabidiol oddziałuje na adenozyne, przekaźnik chemiczny w mózgu, który odgrywa ważną rolę w hamowaniu napadów.

Korzyści ze stosowania leku Epidyolex wykazane w badaniach

W pięciu badaniach z udziałem ponad 900 pacjentów z zespołem Lennox-Gastauta, zespołem Dravet lub TSC wykazano, że Epidyolex zmniejszał liczbę napadów padaczkowych po dodaniu tego leku do innych leków przeciwpadaczkowych po 14-16 tygodniach leczenia.

W dwóch pierwszych badaniach u pacjentów z zespołem Lennox-Gastauta przyjmujących lek Epidyolex w skojarzeniu z klobazamem odnotowano zmniejszenie liczby napadów padaczkowych (krótka utrata napięcia mięśni i zmniejszona świadomość, co powoduje nagłe upadki) maksymalnie o 64%, natomiast u pacjentów otrzymujących placebo (leczenie pozorowane) z klobazamem – maksymalnie o 31%.

W dwóch innych badaniach u pacjentów z zespołem Dravet spadek liczby napadów drgawkowych (poważne drgawki z utratą przytomności) wyniósł maksymalnie 61% w przypadku pacjentów przyjmujących Epidyolex i klobazam oraz maksymalnie 38% w przypadku pacjentów stosujących placebo z klobazamem.

W piątym badaniu, u pacjentów z TSC przyjmujących Epidyolex w maksymalnej dawce 25 mg/kg na dobę uzyskano zmniejszenie liczby napadów o 49% w porównaniu z 27% u pacjentów otrzymujących placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Epidyolex

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Epidyolex (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to senność, zmniejszenie apetytu, biegunka, gorączka, zmęczenie i wymioty. Najczęstszą przyczyną zaprzestania leczenia było podwyższenie poziomu enzymów wątrobowych we krwi (objaw zaburzeń czynności wątroby). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Epidyolex znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Epidyolex nie wolno stosować u pacjentów, u których poziom enzymów wątrobowych we krwi trzykrotnie przekracza normę oraz u których poziom bilirubiny (inny marker zaburzeń czynności wątroby) dwukrotnie przekracza normę. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Epidyolex w UE

W badaniach głównych wykazano, że lek Epidyolex skutecznie zmniejsza liczbę napadów padaczkowych u pacjentów z zespołem Lennox-Gastauta, zespołem Dravet lub TSC, którzy przyjmują inny lek przeciwpadaczkowy. W odniesieniu do bezpieczeństwa, stosowanie leku Epidyolex jest związane z podwyższonym ryzykiem wystąpienia zaburzeń czynności wątroby. Ryzyko to można kontrolować za pomocą ograniczeń i regularnego monitorowania czynności wątroby oraz uważa się je za dopuszczalne, biorąc pod uwagę poważny charakter leczonych chorób i brak leków. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Epidyolex przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Epidyolex

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Epidyolex w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Epidyolex są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Epidyolex są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Epidyolex

Lek Epidyolex otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 19 września 2019 r.

Dalsze informacje na temat leku Epidyolex znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex.

Data ostatniej aktualizacji: 03.2021.