



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/529590/2017
EMA/H/C/000920

Julkinen EPAR-yhteenveto

Vedrop

tokofersolaani

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Vedrop-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Vedropin käytöstä.

Potilas saa Vedropin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Vedrop on ja mihin sitä käytetään?

Vedrop on lääke, jota käytetään E-vitamiinin puutteen hoitoon tai ehkäisyyn. Sitä käytetään alle 18 vuoden ikäisillä lapsilla, joilla on synnynnäinen tai perinnöllinen krooninen kolestaasi ja joilla E-vitamiini ei imeydy suolistosta. Synnynnäinen tai perinnöllinen krooninen kolestaasi on peritty sairaus, joka aiheuttaa ongelmia sapen virtauksessa maksasta suolistoon. Sappi on maksan tuottama neste, joka auttaa rasvojen imeytymisessä suolistosta.

Vedropin vaikuttava aine on tokofersolaani.

Miten Vedropia käytetään?

Vedropia saa ainoastaan lääkemääräyksellä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta synnynnäisen tai perinnöllisen kroonisen kolestaasin hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.

Vedropia on saatavana suun kautta otettavana liuoksena. Suositeltu vuorokausiannos on 0,34 ml kehon painokiloa kohti. Tätä annosta on säädettävä potilaan veren E-vitamiinipitoisuuden mukaan. E-vitamiinipitoisuus on tarkistettava säännöllisesti.



Miten Vedrop vaikuttaa?

E-vitamiini on luonnossa esiintyvä aine, jota ihmiskeho ei voi tuottaa ja jota ruokavalion on siksi sisällettävä. Sillä on useita tehtäviä kehossa, esimerkiksi hermoston suojaaminen vaurioilta. Koska E-vitamiini liukenee rasvoihin eikä veteen, se voi imeytyä suolistosta kehoon vain yhdessä rasvahiukkasten kanssa. Kolestaasista kärsivillä potilailla voi olla alhainen E-vitamiinipitoisuus, koska heillä on ongelmia rasvan imeytymisessä suolistosta.

Vedropin vaikuttava aine tokofersolaani on E-vitamiini, joka on tehty vesiliukoiseksi liittämällä se kemikaaliin nimeltä polyetyleeniglykoli. Tokofersolaani voi imeytyä suolistosta lapsilla, joilla on ongelmia rasvojen ja E-vitamiinin imeytymisessä ruuasta. Tämä voi nostaa veren E-vitamiinipitoisuutta ja auttaa ehkäisemään E-vitamiinin puutteesta johtuvaa hermoston vaurioitumista.

Mitä hyötyä Vedropista on havaittu tutkimuksissa?

Vedropin käytön tueksi yhtiö esitti tietoja tieteellisestä kirjallisuudesta, mukaan lukien tulokset kolmesta tutkimuksesta, joihin osallistui yhteensä 92 kroonista kolestaasia sairastavaa lasta ja nuorta. Heille annettiin tokofersolaania noin kahden vuoden ajan. Kaikilla potilailla oli E-vitamiinin puutos, johon muut suun kautta annettavat E-vitamiinihoidot eivät tehonneet. Tehon pääasiallisena mittana olivat veren E-vitamiinipitoisuus ja niiden lasten lukumäärä, joilla esiintyi hermostollisten oireiden paranemista tai joilla ne pysyivät ennallaan. Tutkimukset osoittivat, että Vedropilla pystyttiin korjaamaan kroonista kolestaasia sairastavien potilaiden veren E-vitamiinipitoisuutta ja että se saattoi parantaa tai ehkäistä hermostollisia oireita, erityisesti alle kolmen vuoden ikäisillä potilailla.

Yhtiö esitti myös tietoja Vedropin käytöstä kystistä fibroosia sairastavilla potilailla, mutta peruutti sitten hakemuksensa tämän sairauden osalta lääkevalmisteen arvioinnin aikana.

Mitä riskejä Vedropiin liittyy?

Vedropin yleisin sivuvaikutus (jota saattaa aiheutua enintään yhdelle kymmenestä potilaasta) on ripuli. Vedropia ei saa antaa keskosvauvoille. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Vedropin sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Vedrop on hyväksytty?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Vedropin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Vedrop on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Vedropista ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Vedropista odotetaan vielä saatavan?

Koska Vedrop on saanut myyntiluvan poikkeusolosuhteissa, lääkevalmistetta markkinoivan yhtiön on toimitettava lisätietoja Vedropin turvallisuudesta ja tehosta synnynnäisen tai perinnöllisen kroonisen kolestaasin hoidossa.

Miten voidaan varmistaa Vedropin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Vedropin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Vedropista

Euroopan komissio myönsi 24. heinäkuuta 2009 Vedropille koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan.

Vedropia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisää tietoa Vedrop-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 08-2017.