



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Vedrop

tocofersolan

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Vedrop. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Vedrop.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Vedrop.

Wat is Vedrop en wanneer wordt het voorgeschreven?

Vedrop is een geneesmiddel dat wordt gebruikt om vitamine E-deficiëntie (lage vitamine E-spiegel) te behandelen of te voorkomen. Het wordt gebruikt bij kinderen tot 18 jaar die aangeboren of erfelijke chronische cholestase hebben en die geen vitamine E uit de darmen kunnen opnemen. Aangeboren of erfelijke chronische cholestase zijn erfelijke aandoeningen die voor problemen zorgen met de galstroom van de lever naar het darmkanaal. Gal is een vloeistof die in de lever wordt aangemaakt en helpt bij het absorberen van vetten uit het darmkanaal.

Vedrop bevat de werkzame stof tocofersolan.

Hoe wordt Vedrop gebruikt?

Vedrop is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met aangeboren of erfelijke chronische cholestase.

Vedrop is verkrijgbaar als oplossing voor toediening via de mond. De aanbevolen dagelijkse dosis bedraagt 0,34 ml per kilogram lichaamsgewicht. Deze dosis moet worden aangepast op basis van de

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



hoeveelheid vitamine E in het bloed van de patiënt. Het bloed dient daarom regelmatig gecontroleerd te worden.

Hoe werkt Vedrop?

Vitamine E is een natuurlijke stof die niet door het lichaam kan worden aangemaakt en waarin daarom in de dagelijkse voeding moet worden voorzien. Vitamine E heeft een aantal functies in het lichaam, zoals het beschermen van het zenuwstelsel tegen beschadiging. Aangezien vitamine E in vetten oplosbaar is en niet in water, kan het alleen vanuit het darmkanaal in het lichaam worden opgenomen naast vetdeeltjes. Patiënten met cholestase kunnen een lage vitamine E-spiegel hebben omdat zij problemen hebben met de absorptie van vetten vanuit het darmkanaal.

De werkzame stof in Vedrop, tocofersolan, is vitamine E die wateroplosbaar gemaakt is door het aan de chemische stof polyethyleenglycol te binden. Tocofersolan kan worden geabsorbeerd uit het darmkanaal bij kinderen die moeilijkheden hebben vetten en vitamine E uit de dagelijkse voeding op te nemen. Dit kan het gehalte aan vitamine E in het bloed verhogen en schade aan het zenuwstelsel als gevolg van vitamine E-deficiëntie helpen voorkomen.

Welke voordelen bleek Vedrop tijdens de studies te hebben?

Om het gebruik van Vedrop te ondersteunen heeft de firma informatie ingediend afkomstig uit wetenschappelijke literatuur, met inbegrip van de resultaten van drie studies onder in totaal 92 kinderen en jongeren met chronische cholestase die gedurende ongeveer twee jaar tocofersolan kregen. Alle patiënten hadden een vitamine E-deficiëntie die niet reageerde op andere, oraal ingenomen vitamine E-behandelingen. De voornaamste graadmeters voor de werkzaamheid waren de vitamine E-spiegel in het bloed en het aantal kinderen bij wie de neurologische symptomen verbeterden of onveranderd bleven. Uit de studies bleek dat Vedrop bij patiënten met chronische cholestase de vitamine E-spiegel kon corrigeren en dat het neurologische symptomen zou kunnen verbeteren of voorkomen, in het bijzonder bij patiënten jonger dan drie jaar.

De firma presenteerde ook gegevens over het gebruik van Vedrop bij patiënten met cystische fibrose, maar heeft de aanvraag voor toepassing van Vedrop bij deze patiënten tijdens de beoordeling van het middel ingetrokken.

Welke risico's houdt het gebruik van Vedrop in?

De meest voorkomende bijwerking van Vedrop (die bij maximaal 1 op de 10 personen kan optreden) is diarree. Vedrop mag niet worden gebruikt bij te vroeg geboren baby's. Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Vedrop.

Waarom is Vedrop goedgekeurd?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Vedrop groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van dit middel.

Vedrop is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Vedrop te verkrijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Vedrop?

Aangezien aan Vedrop goedkeuring onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, is het bedrijf dat Vedrop in de handel brengt verplicht om verdere gegevens te verstrekken over de veiligheid en werkzaamheid van Vedrop bij patiënten met aangeboren of erfelijke chronische cholestase.

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

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

Overige informatie over Vedrop

De Europese Commissie heeft op 24 juli 2009 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Vedrop verleend.

Het volledige EPAR voor Vedrop is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Vedrop.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 08-2017.