



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Vedrop

tokofersolan

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Vedrop. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Vedrop.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Vedrop należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Vedrop i w jakim celu się go stosuje?

Vedrop stosuje się w leczeniu lub profilaktyce niedoboru witaminy E (niskie stężenie witaminy E). Preparat stosuje się u dzieci w wieku do 18 lat chorych na wrodzoną lub dziedziczną przewlekłą żółtaczkę cholestatyczną, których organizm nie wchłania witaminy E z jelit. Wrodzona lub dziedziczna przewlekła żółtaczka cholestatyczna to choroba dziedziczna, w której zaburzony jest przepływ żółci z wątroby do jelit. Żółć jest płynem wytwarzanym w wątrobie, który pomaga we wchłanianiu tłuszczów z jelit.

Vedrop zawiera substancję czynną tokofersolan.

### Jak stosować produkt Vedrop?

Lek Vedrop wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z wrodzoną lub dziedziczną przewlekłą żółtaczką cholestatyczną.

Produkt Vedrop ma postać roztworu do podawania doustnego. Zalecana dawka dobową wynosi 0,34 ml na kilogram masy ciała. Dawkę tę należy zmodyfikować w zależności od stężenia witaminy E we krwi pacjenta, które należy regularnie sprawdzać.



## **Jak działa produkt Vedrop?**

Witamina E jest naturalną substancją, której organizm nie jest w stanie wytwarzać, a więc jest niezbędna w pokarmie. W organizmie pełni kilka funkcji, na przykład chroni układ nerwowy przed uszkodzeniem. Z uwagi na to, że witamina E jest rozpuszczalna w tłuszczach, a nie w wodzie, może wchłaniać się w organizmie jedynie w jelitach wraz z cząsteczkami tłuszczu. U pacjentów z żółtaczką cholestatyczną stężenie witaminy E może być niskie ze względu na zaburzone wchłanianie tłuszczów w jelitach.

Substancja czynna produktu Vedrop, tokofersolan, jest witaminą E, którą zmodyfikowano tak, by rozpuszczała się w wodzie, przyłączając do niej substancję chemiczną o nazwie glikol polietylenowy. Tokofersolan może ulegać wchłanianiu w jelitach u dzieci, u których zaburzone jest wchłanianie tłuszczów i witaminy E z pokarmu. Może to powodować wzrost stężenia witaminy E we krwi i pomóc zapobiegać uszkodzeniu układu nerwowego w wyniku niedoboru witaminy E.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Vedrop zaobserwowano w badaniach?**

Na poparcie stosowania preparatu Vedrop firma przedstawiła dane pochodzące z literatury naukowej, w tym wyniki trzech badań z udziałem łącznie 92 dzieci i młodzieży z przewlekłą żółtaczką cholestatyczną, którym przez około dwa lata podawano tokofersolan. Wszyscy pacjenci mieli niedobór witaminy E i nie reagowali na inne leczenie doustne witaminą E. Głównym kryterium oceny skuteczności było stężenie witaminy E we krwi i liczba dzieci, u których objawy neurologiczne uległy polepszeniu lub pozostały niezmienione. W badaniach udowodniono, że Vedrop może korygować stężenie witaminy E u pacjentów z przewlekłą żółtaczką cholestatyczną i że może powodować poprawę objawów neurologicznych lub zapobiegać ich wystąpieniu, zwłaszcza u pacjentów w wieku poniżej trzech lat.

Firma przedstawiła również dane na temat stosowania preparatu Vedrop u pacjentów z mukowiscydozą, ale podczas oceny leku wycofała wniosek dotyczący tej choroby.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Vedrop?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Vedrop (mogące wystąpić u nie więcej niż 1 osoby na 10) to biegunka. Leku Vedrop nie wolno stosować u wcześniaków. Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Vedrop znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Vedrop?**

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści ze stosowania produktu Vedrop przewyższają ryzyko, i zaleciła przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Lek Vedrop dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Vedrop z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

## **Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Vedrop?**

W związku z tym, że produkt Vedrop został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca go do obrotu ma dostarczyć dodatkowe dane na temat bezpieczeństwa

stosowania i skuteczności leku u pacjentów z wrodzoną lub dziedziczną przewlekłą żółtaczką cholestatyczną.

### **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Vedrop?**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Vedrop w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące produktu Vedrop**

W dniu 24 lipca 2009 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Vedrop do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Vedrop znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Vedrop należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą

Data ostatniej aktualizacji: 08.2017.