



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Vedrop

tokofersolan

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Vedrop. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Vedrop ska användas.

Praktisk information om hur Vedrop ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Vedrop och vad används det för?

Vedrop är ett läkemedel som används för att behandla eller förebygga E-vitaminbrist (låga E-vitaminnivåer). Det ges till barn upp till 18 års ålder som har medfödd eller ärftlig kronisk kolestas och otillräcklig förmåga att ta upp vitamin E från tarmen. Kronisk kolestas är en medfödd eller ärftlig sjukdom som orsakar problem med gallans transport från levern till tarmen. Galla är en vätska som bildas i levern och som hjälper till att ta upp fett från tarmen.

Vedrop innehåller den aktiva substansen tokofersolan.

Hur används Vedrop?

Vedrop är receptbelagt och behandling bör inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med medfödd eller ärftlig kronisk kolestas.

Vedrop finns som en lösning som tas genom munnen. Den rekommenderade dagliga dosen är 0,34 ml per kilo kroppsvikt. Denna dos ska justeras beroende på mängden E-vitamin i patientens blod. E-vitaminnivån ska kontrolleras regelbundet.



Hur verkar Vedrop?

Vitamin E är en naturlig substans som inte kan bildas i kroppen och därför måste hämtas via kosten. Det har en mängd effekter på kroppen, bland annat skyddar det mot skador på nervsystemet. Eftersom vitamin E är lösligt i fett och inte i vatten kan det bara tas upp i tarmen och transporteras ut i kroppen tillsammans med fettpartiklar. Patienter med kolestas kan ha låga E-vitaminnivåer eftersom de har problem med upptaget av fett från tarmen.

Den aktiva substansen i Vedrop, tokofersolan, är vitamin E som har gjorts vattenlösligt genom att det bundits till en kemikalie som kallas polyetylenglykol. Tokofersolan kan tas upp från tarmen hos barn med otillräcklig förmåga att ta upp fett och vitamin E från kosten. Detta kan öka E-vitaminnivåerna i blodet och bidra till att förebygga skador på nervsystemet på grund av E-vitaminbrist.

Vilken nytta med Vedrop har visats i studierna?

Som stöd för användningen av Vedrop lade företaget fram information från den vetenskapliga litteraturen, däribland resultat från tre studier på sammanlagt 92 barn och ungdomar med kronisk kolestas, som fick tokofersolan under omkring två års tid. Samtliga patienter hade E-vitaminbrist och hade inte svarat på annan behandling med vitamin E som gavs genom munnen. Huvudeffektmåtten var E-vitaminnivåerna i blodet samt antalet barn vars neurologiska symtom förbättrades eller förblev oförändrade. Studierna visade att Vedrop kan korrigera E-vitaminnivåerna hos patienter med kronisk kolestas och att det skulle kunna förbättra eller förebygga neurologiska symtom, särskilt hos patienter under tre års ålder.

Företaget lade också fram information om användningen av Vedrop till patienter med cystisk fibros, men under utvärderingen av läkemedlet drog företaget tillbaka sin ansökan med denna sjukdom som indikation.

Vilka är riskerna med Vedrop?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Vedrop (kan drabba upp till 1 av 10 personer) är diarré. Vedrop får inte ges till för tidigt födda spädbarn. En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Vedrop finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Vedrop?

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att nyttan med Vedrop är större än riskerna och rekommenderade att Vedrop skulle godkännas för försäljning.

Vedrop har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Vedrop eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Vedrop saknas för närvarande?

Eftersom Vedrop har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall" är företaget som marknadsför läkemedlet tvunget att lämna in ytterligare data om Vedrops säkerhet och effekt hos patienter med medfödd eller ärftlig kronisk kolestas.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Vedrop?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Vedrop har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Övrig information om Vedrop

Den 24 juli 2009 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Vedrop som gäller i hela EU.

EPAR för Vedrop finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Vedrop finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 08-2017.