



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epidyolex (*kannabidioli*)

Yleistiedot Epidyolexista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Epidyolex on ja mihin sitä käytetään?

Epidyolex on lääkevalmiste, jota käytetään klobatsaamin lisänä Lennox-Gastaut'n tai Dravet'n oireyhtymää sairastavien vähintään kaksivuotiaiden potilaiden hoidossa. Sitä käytetään myös tuberoosiskleroosin (TSC) hoidossa yhdessä muiden epilepsiahoitojen kanssa samoin vähintään kahden vuoden ikäisillä potilailla. Kyse on harvinaisista epilepsian muodoista, jotka ilmenevät lapsuudessa ja voivat jatkua aikuisikään. Niiden oireita ovat erilaiset kohtaukset, aivojen poikkeava sähköinen toiminta, oppimisvaikeudet ja käyttäytymisongelmat.

Nämä sairaudet ovat harvinaisia, ja Epidyolex nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke). Lisää tietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivustolla: ([Dravet'n oireyhtymä](#): 15. lokakuuta 2014; [Lennox-Gastaut'n oireyhtymä](#): 20. maaliskuuta 2017; [tuberoosiskleroosi](#): 17. tammikuuta 2018).

Epidyolexin vaikuttava aine on kannabidioli.

Miten Epidyolexia käytetään?

Epidyolexia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa ja sitä saa valvoa lääkäri, jolla on kokemusta epilepsian hoidosta.

Epidyolexia on saatavana nesteinä, joka sisältää 100 mg kannabidiolia millilitrassa. Lääke on otettava johdonmukaisesti joko ruoan kanssa tai ilman sitä. Suositeltava aloitusannos on 2,5 mg potilaan painokiloa kohden kahdesti vuorokaudessa. Annokset mitataan ja annetaan suun kautta lääkkeen kanssa toimitettavan ruiskun avulla. Viikon jälkeen annosta on lisättävä 5 mg:aan/kg kahdesti vuorokaudessa. Yksilöllisestä vasteesta riippuen ja sen mukaan, miten hyvin potilas sietää lääkettä, hoitava lääkäri voi lisätä annosta vähitellen enintään 10 mg:aan/kg kahdesti vuorokaudessa Dravet'n ja Lennox-Gastaut'n oireyhtymien hoidossa ja 12,5 mg:aan/kg kahdesti vuorokaudessa TSC:n hoidossa. Lisätietoja Epidyolexin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Epidyolex vaikuttaa?

Vaikka Epidyolexin vaikuttavan aineen, kannabidiolin, vaikutustapaa ei täysin tunneta, se oletettavasti kohdistuu sellaisiin kohteisiin, jotka vaikuttavat kalsiumin kulkeutumiseen soluissa. Koska tällä on merkitystä sähkösignaalien kulkeutumiseen joissakin hermosoluissa ja koska kohtaukset johtuvat

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



aivojen liiallisesta sähköisestä toiminnasta, kalsiumin kulkeutumisen muuttamisen odotetaan vähentävän kohtauksia tai ehkäisevän niitä Lennox-Gastaut'n tai Dravet'n oireyhtymää tai TSC:tä sairastavilla potilailla. Kannabidiolin uskotaan myös vaikuttavan adenosiniiniin. Se on aivojen kemiallinen välittäjäaine, jolla on tärkeä osa kohtausten estämisessä.

Mitä hyötyä Epidyolexista on havaittu tutkimuksissa?

Viidessä tutkimuksessa, joihin osallistui yli 900 Lennox-Gastaut'n oireyhtymää, Dravet'n oireyhtymää tai TSC:tä sairastavaa potilasta, osoitettiin, että Epidyolex vähentää kohtausten määrää 14–16 hoitoviikon jälkeen, kun sitä annetaan muiden epilepsian hoidossa käytettävien lääkkeiden lisänä.

Kahdessa ensimmäisessä tutkimuksessa Lennox-Gastaut'n oireyhtymää sairastavilla potilailla, jotka saivat Epidyolexia yhdessä klobatsaamin kanssa, kaatumiskohtausten (lyhytaikainen lihasjänteiden menettäminen ja tajunnan heikkeneminen, mikä aiheuttaa äkkinäisen kaatumisen) määrä väheni 64 %, kun lumelääkettä yhdessä klobatsaamin kanssa saaneilla määrä väheni enintään 31 %.

Kahdessa muussa tutkimuksessa, joihin osallistui Dravet'n oireyhtymää sairastavia potilaita, kouristuskohtausten (vaikeat kohtaukset, joihin liittyy tajunnan menetys) määrä väheni 61 % Epidyolexia ja klobatsamia saaneilla potilailla, kun lumelääkettä ja klobatsamia saaneilla se väheni 38 %.

Viidennessä tutkimuksessa TSC:tä sairastavilla potilailla, jotka saivat Epidyolexia enimmäisannoksen 25 mg/kg vuorokaudessa, kohtausten määrä väheni 49 %, kun lumelääkettä saaneilla määrä väheni 27 %.

Mitä riskejä Epidyolexiin liittyy?

Epidyolexin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat uneliaisuus, heikentynyt ruokahalu, ripuli, kuume, väsymys ja oksentelu. Yleisin syy hoidon lopettamiseen oli maksaentsyymien lisääntynyt pitoisuus veressä (merkki maksaongelmista). Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Epidyolexin haittavaikutuksista.

Epidyolexia ei saa käyttää potilailla, joiden veren maksaentsyymipitoisuus on yli kolminkertainen normaalipitoisuuteen verrattuna ja joiden bilirubiinipitoisuus (toinen maksaongelmien merkki) on yli kaksinkertainen normaalipitoisuuteen verrattuna. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Epidyolex on hyväksytty EU:ssa?

Päätutkimukset osoittivat, että Epidyolex vähentää tehokkaasti kohtausten määrää Lennox-Gastaut'n oireyhtymää, Dravet'n oireyhtymää tai TSC:tä sairastavilla potilailla, jotka käyttävät lisäksi jotakin toista epilepsialääkettä. Turvallisuuden osalta voidaan todeta, että Epidyolexiin liittyy maksaongelmien kasvanut riski. Riskiä voidaan hallita rajoituksin ja seuraamalla säännöllisesti maksan tilaa, ja sitä pidetään hyväksyttävänä, kun otetaan huomioon kyseisten sairauksien vakavuus ja hoitovaihtoehtojen puute. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Epidyolexin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Epidyolexin turvallinen ja tehokas käyttö?

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

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Epidyolexin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Epidyolexista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Epidyolexista

Epidyolex sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 19. syyskuuta 2019.

Lisää tietoa Epidyolexista saa viraston verkkosivustolta osoitteessa

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 03-2021.