



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epidyolex (*cannabidiolo*)

Sintesi di Epidyolex e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Epidyolex e per cosa si usa?

Epidyolex è un medicinale usato in aggiunta a clobazam per il trattamento di pazienti a partire da due anni di età affetti dalla sindrome di Lennox-Gastaut o dalla sindrome di Dravet. È altresì indicato per il trattamento della sclerosi tuberosa complessa in associazione ad altri trattamenti per l'epilessia in pazienti di età pari o superiore a due anni. Si tratta di rare forme di epilessia che iniziano nell'infanzia e possono perdurare nell'età adulta. I sintomi di queste malattie includono diverse forme di crisi (convulsioni), attività elettrica anormale a livello cerebrale, difficoltà di apprendimento e disturbi comportamentali.

Queste malattie sono rare ed Epidyolex è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare). Maggiori informazioni sulle qualifiche di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ([sindrome di Dravet](#): 15 ottobre 2014; [sindrome di Lennox-Gastaut](#): 20 marzo 2017; [sclerosi tuberosa](#): 17 gennaio 2018).

Epidyolex contiene il principio attivo cannabidiolo.

Come si usa Epidyolex?

Epidyolex può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. La terapia deve essere iniziata e controllata da un medico esperto nel trattamento dell'epilessia.

Epidyolex è disponibile sotto forma di liquido contenente 100 mg di cannabidiolo per ml. La sua assunzione deve avvenire sempre a stomaco pieno oppure a stomaco vuoto. La dose iniziale raccomandata è di 2,5 mg per chilogrammo di peso corporeo due volte al giorno. Le dosi vengono misurate e somministrate per via orale con un'apposita siringa fornita con il medicinale. Dopo una settimana, la dose deve essere aumentata a 5 mg/kg due volte al giorno. A seconda della risposta del singolo paziente e del relativo grado di tolleranza, il medico può incrementare gradualmente la dose fino a un massimo di 10 mg/kg due volte al giorno per le sindromi di Dravet e Lennox-Gastaut e di 12,5 mg/kg due volte al giorno per la sclerosi tuberosa complessa. Per maggiori informazioni sull'uso di Epidyolex, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Official address Domenico Scarlatillaan 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



Come agisce Epidyolex?

Sebbene non siano esattamente noti i meccanismi d'azione, si ritiene che il principio attivo di Epidyolex, cannabidiolo, agisca sui bersagli che contribuiscono al movimento del calcio intracellulare. Poiché ciò è importante per la trasmissione di segnali elettrici in alcune cellule nervose e le crisi sono causate da un'eccessiva attività elettrica a livello cerebrale, la modulazione del movimento del calcio dovrebbe ridurre o prevenire le crisi nei pazienti affetti dalla sindrome di Lennox-Gastaut, dalla sindrome di Dravet o dalla sclerosi tuberosa complessa. Si ritiene che il cannabidiolo agisca anche sull'adenosina, un messaggero chimico presente nel cervello che svolge un ruolo importante nella prevenzione delle crisi.

Quali benefici di Epidyolex sono stati evidenziati negli studi?

Cinque studi condotti su oltre 900 pazienti affetti da sindrome di Lennox-Gastaut, sindrome di Dravet o sclerosi tuberosa complessa hanno dimostrato che Epidyolex, in aggiunta ad altri medicinali per l'epilessia, riduce il numero di crisi dopo 14-16 settimane di trattamento.

Nei primi due studi, nei pazienti affetti dalla sindrome di Lennox-Gastaut che assumevano Epidyolex in associazione a clobazam è stata registrata una riduzione massima del 64 % delle crisi di caduta (breve perdita di tono muscolare e ridotto livello di coscienza con conseguenti cadute improvvise), a fronte del 31 % nei pazienti trattati con placebo (un trattamento fittizio) e clobazam.

In altri due studi condotti su pazienti affetti dalla sindrome di Dravet, la riduzione massima del numero di crisi convulsive (crisi più gravi con perdita di coscienza) è stata del 61 % nei pazienti trattati con Epidyolex e clobazam, a fronte del 38 % nei pazienti trattati con placebo e clobazam.

In un quinto studio i pazienti affetti da sclerosi tuberosa complessa che assumevano Epidyolex alla dose massima di 25 mg/kg/giorno hanno mostrato una riduzione del 49 % del numero di crisi a fronte del 27 % nei pazienti che avevano ricevuto placebo.

Quali sono i rischi associati a Epidyolex?

Gli effetti indesiderati più comuni di Epidyolex (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono sonnolenza, appetito ridotto, diarrea, febbre, stanchezza e vomito. La causa più frequente dell'interruzione del trattamento è un aumento del livello di enzimi epatici nel sangue (segno di problemi al fegato). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Epidyolex, vedere il foglio illustrativo.

Epidyolex non deve essere somministrato a pazienti i cui livelli di enzimi epatici nel sangue siano di oltre tre volte superiori ai limiti di riferimento e i cui livelli di bilirubina (un altro indicatore di problemi al fegato) siano di oltre due volte superiori ai limiti di riferimento. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Epidyolex è autorizzato nell'UE?

Gli studi principali hanno mostrato che Epidyolex è efficace nel ridurre il numero di crisi nei pazienti affetti dalla sindrome di Lennox-Gastaut, dalla sindrome di Dravet o dalla sclerosi tuberosa complessa che assumono un altro medicinale per l'epilessia. Per quanto concerne la sicurezza, il trattamento con Epidyolex è associato a un rischio maggiore di problemi al fegato, a cui si può far fronte con restrizioni e controlli regolari delle condizioni del fegato. Questo rischio è considerato accettabile data la gravità delle malattie e la mancanza di trattamenti. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Epidyolex sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Epidyolex?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Epidyolex sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Epidyolex sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Epidyolex sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Epidyolex

Epidyolex ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 19 settembre 2019.

Ulteriori informazioni su Epidyolex sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2021.