

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

Riassunto destinato al pubblico

Vedrop

tocofersolan

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Vedrop. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Vedrop.

Per informazioni pratiche sull'uso di Vedrop, i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Vedrop?

Vedrop è un medicinale usato per trattare o prevenire la deficienza di vitamina E (bassi livelli di vitamina E). È impiegato nei bambini e negli adolescenti fino a 18 anni di età affetti da colestasi cronica congenita o ereditaria, il cui intestino non è in grado di assorbire vitamina E. La colestasi cronica congenita o ereditaria è una malattia ereditaria per la quale la bile non può fluire dal fegato all'intestino. La bile è un liquido prodotto nel fegato che aiuta ad assorbire i grassi dall'intestino.

Vedrop contiene il principio attivo tocofersolan.

Come si usa Vedrop?

Vedrop può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e monitorato da un medico esperto nella gestione di pazienti affetti da colestasi cronica congenita o ereditaria.

Vedrop è disponibile come soluzione da somministrare per via orale. La dose giornaliera raccomandata è 0,34 ml per chilogrammo di peso corporeo. La dose deve essere aggiustata in base al livello di vitamina E nel sangue del paziente. È opportuno controllare questo valore regolarmente.



Come agisce Vedrop?

La vitamina E è una sostanza naturale che, non essendo prodotta dall'organismo, deve essere integrata mediante il cibo. Essa svolge numerose funzioni all'interno del corpo, tra cui quella di proteggere il sistema nervoso. Poiché la vitamina E si scioglie nei grassi e non nell'acqua, essa viene assorbita dal corpo unicamente tramite l'intestino, insieme a particelle di grasso. I pazienti affetti da colestasi possono presentare bassi livelli di vitamina E a causa di un malassorbimento dei grassi da parte dell'intestino.

Il principio attivo in Vedrop, tocofersolan, consiste in una forma di vitamina E che è resa solubile in acqua agganciandola a un agente chimico denominato polietilenglicole. Tocofersolan può essere assorbito dall'intestino nei bambini che hanno difficoltà ad assorbire i grassi e la vitamina E dalla dieta. Ciò può aumentare i livelli di vitamina E nel sangue e aiutare a prevenire deterioramenti neurologici dovuti a carenza di vitamina E.

Quali benefici di Vedrop sono stati evidenziati negli studi?

A supporto dell'impiego di Vedrop, la ditta ha presentato informazioni tratte dalla letteratura scientifica, compresi i risultati di tre studi condotti su un totale di 92 bambini e adolescenti con colestasi cronica, cui era stato somministrato tocofersolan per un periodo di due anni circa. Tutti i pazienti presentavano carenza di vitamina E e non avevano risposto ad altri trattamenti orali a base di vitamina E. I principali criteri di efficacia si basavano sul livello di vitamina E presente nel sangue e sul numero di bambini i cui sintomi neurologici erano migliorati o rimasti invariati. Gli studi hanno mostrato che Vedrop può correggere i livelli di vitamina E nei pazienti con colestasi cronica e che può migliorare o prevenire sintomi neurologici, in particolare nei pazienti con età inferiore a tre anni.

La ditta ha presentato informazioni sull'impiego di Vedrop anche in pazienti affetti da fibrosi cistica, tuttavia, nel corso della valutazione del medicinale, la domanda è stata ritirata con riferimento a questo disturbo.

Quali sono i rischi associati a Vedrop?

L'effetto indesiderato più comune di Vedrop (che può riguardare fino a 1 persona su 10) è la diarrea. Vedrop non deve essere somministrato ai neonati prematuri. Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Vedrop, vedere il foglio illustrativo.

Perché Vedrop è approvato?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Vedrop sono superiori ai rischi e ne ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Vedrop è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Vedrop a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Vedrop?

Poiché Vedrop è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Vedrop fornirà ulteriori dati sulla sicurezza e sull'efficacia di Vedrop in pazienti con colestasi cronica congenita o ereditaria.

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

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

Altre informazioni su Vedrop

Il 24 luglio 2009 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Vedrop, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Vedrop consultare il sito Web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Vedrop, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 08-2017.