



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epidyolex (*canabidiol*)

Um resumo sobre Epidyolex e porque está autorizado na UE

O que é Epidyolex e para que é utilizado?

Epidyolex é um medicamento utilizado em associação com clobazam para o tratamento de doentes a partir dos dois anos de idade com síndrome de Lennox-Gastaut ou síndrome de Dravet. É também utilizado no tratamento do complexo de esclerose tuberosa (CET) juntamente com outros tratamentos para a epilepsia também em doentes com dois ou mais anos de idade. Trata-se de formas raras de epilepsia que têm início na infância e podem continuar na idade adulta. Os sintomas destas doenças incluem convulsões (ataques) de vários tipos, atividade elétrica anormal no cérebro, dificuldades de aprendizagem e perturbações do comportamento.

Estas doenças são raras e Epidyolex foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras). Mais informações sobre designações órfãs podem ser encontradas no sítio da Internet da Agência Europeia de Medicamentos: ([síndrome de Dravet](#): 15 de outubro de 2014; [síndrome de Lennox-Gastaut](#): 20 de março de 2017; [esclerose tuberosa](#): 17 de janeiro de 2018).

Epidyolex contém a substância ativa canabidiol.

Como se utiliza Epidyolex?

Epidyolex só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da epilepsia.

Epidyolex está disponível na forma de um líquido que contém 100 mg de canabidiol por mililitro (ml). Deve ser tomado de forma consistente quer com ou sem alimentos. A dose inicial recomendada é de 2,5 mg por quilograma de peso corporal, duas vezes ao dia. As doses são medidas e administradas por via oral com uma seringa adequada fornecida com o medicamento. Após uma semana, a dose pode ser aumentada para 5 mg por quilograma de peso corporal, duas vezes ao dia. Com base na resposta e na tolerabilidade individual, o médico poderá aumentar a dose gradualmente até um máximo de 10 mg por quilograma de peso corporal duas vezes ao dia para as síndromes de Dravet e Lennox-Gastaut e de 12,5 mg para o CET. Para mais informações sobre a utilização de Epidyolex, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Epidyolex?

O mecanismo de ação do canabidiol, a substância ativa de Epidyolex, ainda não está totalmente esclarecido, mas pensa-se que atue em alvos que têm um papel no movimento de cálcio nas células. Como isso é importante para a transmissão de sinais elétricos em certas células nervosas e as convulsões são causadas por uma atividade elétrica excessiva no cérebro, prevê-se que a alteração do movimento do cálcio reduza ou previna as convulsões em doentes com síndrome de Lennox-Gastaut, síndrome de Dravet ou CET. Pensa-se também que o canabidiol atue sobre a adenosina, um mensageiro químico no cérebro que tem um papel anticonvulsivo importante.

Quais os benefícios demonstrados por Epidyolex durante os estudos?

Cinco estudos realizados em mais de 900 doentes com síndrome de Lennox-Gastaut, síndrome de Dravet ou CET mostraram que Epidyolex reduziu o número de convulsões quando associado ao tratamento com outros medicamentos para a epilepsia após 14 a 16 semanas de tratamento.

Nos primeiros dois estudos, os doentes com síndrome de Lennox-Gastaut que tomaram Epidyolex em associação com clobazam tiveram uma redução de até 64 % do número de crises atónicas (perda de tónus muscular e diminuição da consciência que duram alguns instantes e causam quedas bruscas), em comparação com uma redução de até 31 % nos doentes que receberam um placebo (tratamento simulado) em associação com clobazam.

Em dois outros estudos em doentes com síndrome de Dravet, a redução do número de crises convulsivas (ataques *major* com perda de consciência) foi de até 61 % nos doentes a tomar Epidyolex e clobazam e de até 38 % nos doentes a receber o placebo e clobazam.

Num quinto estudo, os doentes com CET a tomar Epidyolex na dose máxima de 25 mg por quilograma de peso corporal por dia apresentaram uma redução de 49 % no número de crises, em comparação com 27 % nos doentes a receber um placebo.

Quais são os riscos associados a Epidyolex?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Epidyolex (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são sonolência (sono), diminuição do apetite, diarreia, febre, cansaço e vómitos. A razão mais frequente para a interrupção do tratamento foi o aumento dos níveis de enzimas hepáticas no sangue (um sinal de problemas no fígado). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Epidyolex, consulte o Folheto Informativo.

O uso de Epidyolex está contraindicado em doentes com elevações de enzimas hepáticas no sangue superiores a três vezes o limite normal e que também tenham níveis de bilirrubina (outro marcador de problemas no fígado) mais de duas vezes acima do limite normal. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Epidyolex autorizado na UE?

Os estudos principais mostraram que Epidyolex é eficaz na redução do número de crises em doentes com síndrome de Lennox-Gastaut, síndrome de Dravet e CET que tomam outro medicamento para a epilepsia. No que diz respeito à segurança, o tratamento com Epidyolex está associado a um risco acrescido de problemas hepáticos. Este risco pode ser gerido com restrições e monitorização regular do fígado e é considerado aceitável dada a gravidade das doenças e a falta de tratamentos. A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Epidyolex são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Epidyolex?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Epidyolex.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Epidyolex são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Epidyolex são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Epidyolex

A 19 de setembro de 2019, Epidyolex recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia.

Mais informações sobre Epidyolex podem ser encontradas no sítio da Internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 03-2021.