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

Epidyolex (*canabidiol*)

Prezentare generală a Epidyolex și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Epidyolex și pentru ce se utilizează?

Epidyolex este un medicament utilizat în asociere cu clobazam pentru tratarea pacienților cu vârsta de cel puțin 2 ani, cu sindrom Lennox-Gastaut sau cu sindrom Dravet. De asemenea, se utilizează împreună cu alte tratamente antiepileptice pentru complexul de scleroză tuberoasă (TSC), tot la pacienți cu vârsta de cel puțin 2 ani. Acestea sunt tipuri rare de epilepsie care debutează în copilărie și pot continua până la vârsta adultă. Printre simptomele acestor boli se numără multiple tipuri de convulsii (crize), activitate electrică anormală a creierului, dificultăți de învățare și probleme de comportament.

Aceste boli sunt rare, iar Epidyolex a fost desemnat „medicament orfan" (un medicament utilizat în boli rare). Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite pe site-ul Agenției Europene pentru Medicamente: (sindromul Dravet: 15 octombrie 2014; sindromul Lennox-Gastaut: 20 martie 2017; scleroză tuberoasă: 17 ianuarie 2018).

Epidyolex conține substanța activă canabidiol.

Cum se utilizează Epidyolex?

Epidyolex se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și urmărit de un medic cu experiență în tratamentul epilepsiei.

Epidyolex este disponibil sub formă de lichid care conține 100 mg de canabidiol pe ml. Trebuie luat de fiecare dată fie cu alimente, fie fără alimente. Doza inițială recomandată este de 2,5 mg/kg de greutate corporală, de două ori pe zi. Dozele se măsoară și se iau pe cale orală cu seringa furnizată împreună cu medicamentul. După o săptămână, doza trebuie mărită la 5 mg/kg de două ori pe zi. În funcție de răspunsul individual și de cât de bine este tolerat medicamentul, medicul poate mări treptat doza până la maximum 10 mg/kg de două ori pe zi, în cazul sindroamelor Dravet și Lennox-Gastaut, și 12,5 mg/kg de două ori pe zi pentru TSC. Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Epidyolex, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Epidyolex?

Deși modul de funcționare a canabidiolului, substanța activă din Epidyolex, nu este clar înțeles, se consideră că acesta acționează asupra țintelor cu rol în circulația calciului în celule. Deoarece acest

© European Medicines Agency, 2021. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

lucru este important pentru transmiterea semnalelor electrice în unele celule nervoase, iar convulsiile sunt cauzate de activitatea electrică excesivă din creier, se preconizează că modificarea circulației calciului reduce sau previne crizele convulsive la pacienții cu sindrom Lennox-Gastaut, sindrom Dravet sau TSC. Se consideră că canabidiolul acționează și asupra adenozinei, un mesager chimic din creier cu rol important în suprimarea convulsiilor.

Ce beneficii a prezentat Epidyolex pe parcursul studiilor?

Cinci studii efectuate la peste 900 de pacienți cu sindrom Lennox-Gastaut, sindrom Dravet sau TSC au arătat că Epidyolex în asociere cu alte tratamente cu medicamente antiepileptice a redus numărul de crize convulsive după 14 până la 16 săptămâni de tratament.

În primele două studii, pacienții cu sindrom Lennox-Gastaut care au luat Epidyolex în asociere cu clobazam au avut o reducere de până la 64 % a numărului de crize convulsive cu cădere (pierderea pe moment a tonusului muscular și reducerea stării de conștiență, cauzând căderi bruște), în comparație cu reducerea de până la 31 % la pacienții care au primit placebo (un preparat inactiv) în asociere cu clobazam.

În alte două studii, efectuate la pacienți cu sindrom Dravet, reducerea numărului de crize convulsive (crize majore cu pierderea cunoștinței) a fost de până la 61 % la pacienții care au luat Epidyolex și clobazam și de până la 38 % la pacienții tratați cu placebo și clobazam.

În al cincilea studiu, pacienții cu TSC care au luat Epidyolex în doză maximă de 25 mg/kg/zi au avut o reducere de 49 % a numărului de crize convulsive, în comparație cu 27 % la pacienții care au primit placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Epidyolex?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Epidyolex (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt somnolență, scăderea poftei de mâncare, diaree, febră, oboseală și vărsături. Cel mai frecvent motiv pentru oprirea tratamentului a fost creșterea valorilor enzimelor hepatice în sânge (semn de probleme de ficat). Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Epidyolex, citiți prospectul.

Epidyolex este contraindicat la pacienții la care nivelul enzimelor hepatice în sânge este de peste trei ori limita normală și care au și nivelul bilirubinei (alt indicator de probleme de ficat) de peste două ori limita normală. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Epidyolex în UE?

Studiile principalele au arătat că Epidyolex este eficace în reducerea numărului de crize convulsive la pacienții cu sindrom Lennox-Gastaut, cu sindrom Dravet sau cu TSC care iau alt medicament antiepileptic. În ceea ce privește siguranța, tratamentul cu Epidyolex este asociat cu un risc crescut de probleme de ficat. Acest risc poate fi controlat prin restricții și urmărirea periodică a ficatului și este considerat acceptabil având în vedere gravitatea bolilor și lipsa tratamentelor. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Epidyolex sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Epidyolex?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Epidyolex, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Epidyolex sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Epidyolex sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Epidyolex

Epidyolex a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 19 septembrie 2019.

Informații suplimentare cu privire la Epidyolex sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epidyolex.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 03-2021.