



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epidyolex (*cannabidiol*)

Sammanfattning av Epidyolex och varför det är godkänt inom EU

Vad är Epidyolex och vad används det för?

Epidyolex är ett läkemedel som används som tillägg till klobazam för att behandla patienter från två års ålder med Lennox-Gastauts syndrom eller Dravets syndrom. Det ges också för att behandla tuberös skleros (TSC) tillsammans med andra epilepsibehandlingar, också hos patienter från två års ålder. Dessa är sällsynta typer av epilepsi som börjar i barndomen och kan fortsätta upp i vuxen ålder. Symtomen vid dessa tillstånd omfattar flera typer av anfall, onormal elektrisk aktivitet i hjärnan, inlärningssvårigheter och beteendeproblem.

Sjukdomarna är sällsynta och Epidyolex klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s webbplats: ([Dravets syndrom](#): 15 oktober 2014, [Lennox-Gastauts syndrom](#): 20 mars 2017, [tuberös skleros](#): 17 januari 2018).

Epidyolex innehåller den aktiva substansen cannabidiol.

Hur används Epidyolex?

Epidyolex är receptbelagt och behandlingen ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla epilepsi.

Epidyolex finns som en vätska som innehåller 100 mg cannabidiol per ml. Det ska tas konsekvent med eller utan föda. Den rekommenderade startdosen är 2,5 mg per kilo kroppsvikt två gånger om dagen. Doserna mäts och ges genom munnen med en spruta som levereras med läkemedlet. Efter en vecka ska dosen ökas till 5 mg/kg två gånger om dagen. Beroende på det individuella svaret och hur väl läkemedlet tolereras kan läkaren öka dosen gradvis upp till högst 10 mg/kg två gånger om dagen för Dravets syndrom och Lennox-Gastauts syndrom och 12,5 mg/kg två gånger om dagen för TSC. För mer information om hur du använder Epidyolex, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Epidyolex?

Även om det inte är klart hur den verkar tros den aktiva substansen i Epidyolex, cannabidiol, verka på mål som spelar roll för hur kalcium förflyttar sig i cellerna. Då detta är viktigt för överföringen av elektriska signaler i vissa nervceller och anfällen orsakas av alltför hög elektrisk aktivitet i hjärnan

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



förväntas förändringen av kalciumförflyttningen minska eller förhindra anfall hos patienter med Lennox-Gastauts syndrom, Dravets syndrom eller TSC. Cannabidiol tros också verka på adenosin, en kemisk signalsubstans i hjärnan som spelar en viktig roll för att hämma anfall.

Vilka fördelar med Epidyolex har visats i studierna?

Fem studier på över 900 patienter med Lennox-Gastauts syndrom, Dravets syndrom eller TSC visade att Epidyolex minskade antalet anfall när det gavs som tillägg till behandling med andra epilepsiläkemedel efter 14 till 16 veckors behandling.

I de första två studierna hade patienter med Lennox-Gastauts syndrom som tog Epidyolex i kombination med klobazam en minskning med upp till 64 procent av antalet atoniska anfall (kortvarig förlust av muskeltonus och sänkt medvetande, vilket leder till plötsliga fall) jämfört med en minskning med upp till 31 procent för patienter som fick placebo (overksam behandling) med klobazam.

I de två andra studierna på patienter med Dravets syndrom var minskningen av antalet konvulsiva anfall (större anfall med medvetandeförlust) upp till 61 procent för patienter som tog Epidyolex och klobazam och upp till 38 procent för patienter som tog placebo och klobazam.

I en femte studie minskade antalet anfall med 49 procent hos patienter med TSC som fick Epidyolex i den högsta dosen 25 mg/kg/dag, jämfört med 27 procent hos patienterna som fick placebo.

Vilka är riskerna med Epidyolex?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Epidyolex (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är somnolens (sömnighet), minskad aptit, diarré, feber, trötthet och kräkningar. Det vanligaste skälet till att stoppa behandlingen var förhöjda halter av leverenzymerna i blodet (ett tecken på leverproblem). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Epidyolex finns i bipacksedeln.

Epidyolex får inte ges till patienter vars nivåer av leverenzymerna i blodet är mer än tre gånger högre än den normala gränsen och som också har nivåer av bilirubin (en annan markör för leverproblem) som är mer än två gånger högre än den normala gränsen. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Epidyolex godkänt i EU?

Huvudstudierna visade att Epidyolex är effektivt för att minska antalet anfall hos patienter med Lennox-Gastauts syndrom, Dravets syndrom eller TSC som tar ett annat epilepsiläkemedel. När det gäller säkerheten är Epidyolex förknippat med förhöjd risk för leverproblem. Risken kan hanteras med restriktioner och regelbunden leverövervakning och anses godtagbar med tanke på sjukdomarnas allvarlighetsgrad och bristen på behandlingar. EMA fann därför att fördelarna med Epidyolex är större än riskerna och att Epidyolex kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Epidyolex?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Epidyolex har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Epidyolex kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Epidyolex utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Epidyolex

Den 19 september 2019 beviljades Epidyolex ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Epidyolex finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2021.