

Dokumentvorlage, Version vom 16.12.2021

# **Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V**

*Cannabidiol (Epidyolex®)*

Jazz Pharmaceuticals

## **Modul 4 B (Ergänzung)**

*Zusatztherapie von Krampfanfällen im Zusammenhang mit  
dem Lennox-Gastaut-Syndrom (LGS) in Verbindung mit  
Clobazam bei Patienten ab 2 Jahren*

**Nachgereichte Unterlagen zu den  
am 30.11.2023 eingereichten  
Dossierunterlagen gemäß 5. Kapitel  
§ 17 Abs. 1 VerfO**

Stand: 22.01.2024

# Inhaltsverzeichnis

	Seite
<b>Tabellenverzeichnis .....</b>	<b>2</b>
<b>Abbildungsverzeichnis .....</b>	<b>3</b>
<b>Abkürzungsverzeichnis.....</b>	<b>4</b>
<b>4 Modul 4 (Ergänzung) – allgemeine Informationen .....</b>	<b>5</b>
4.1 Ergänzung zu Modul 4.....	6
4.1.1 Endpunkt Vineland-II – Rücklaufquoten .....	6
4.1.2 Endpunkt QOLCE / QOLIE – Rücklaufquoten .....	13
4.2 Referenzliste.....	22

**Tabellenverzeichnis**

	<b>Seite</b>
Tabelle 4-1: Anteil der Patienten mit Bewertung des Vineland-II zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1414 (ITT-Population).....	6
Tabelle 4-2: Anteil der Patienten mit Bewertung des Vineland-II zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1423 (ITT-Population).....	9
Tabelle 4-3: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLCE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1414 (ITT-Population).....	13
Tabelle 4-4: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLCE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1423 (ITT-Population).....	16
Tabelle 4-5: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLIE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1414 (ITT-Population).....	19
Tabelle 4-6: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLIE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1423 (ITT-Population).....	21

## Abbildungsverzeichnis

Seite

**Es konnten keine Einträge für ein Abbildungsverzeichnis gefunden werden.**

**Abkürzungsverzeichnis**

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
ITT	Intention to treat
LGS	Lennox-Gastaut-Syndrom
n	Größe der Stichprobe
N	Grundgesamtheit der Population
PIAT	Patientenindividuelle anfallssuppressive Therapie
QOLCE	Lebensqualität in kindlicher Epilepsie (Quality of Life in Childhood Epilepsy)
QOLIE	Lebensqualität in Epilepsie (Quality of Life in Epilepsy)

#### **4 Modul 4 (Ergänzung) – allgemeine Informationen**

Modul 4 (Ergänzung) enthält folgende Angaben:

Der G-BA hat Jazz Pharmaceuticals darauf hingewiesen, dass im Rahmen der frühen Nutzenbewertung nach § 35a SGB V für den Wirkstoff Cannabidiol nicht alle nach dem 5. Kapitel, §9 der Verfahrensordnung des G-BA vorzulegenden Unterlagen eingereicht wurden. Mit dem vorliegenden Dokument kommt Jazz Pharmaceuticals der Aufforderung des G-BA nach, die fehlenden Unterlagen nachzureichen.

#### 4.1 Ergänzung zu Modul 4

Im Modul 4B ist im Kapitel 4.2.5.2 ausgewiesen, dass auf eine Darstellung der Ergebnisse der Endpunkte Vineland-II und QOLCE/QOLIE verzichtet wird, da die Rücklaufquoten unter 70 % liegen. Ergänzend werden die Rücklaufquoten zu den genannten Endpunkten dargestellt.

##### 4.1.1 Endpunkt Vineland-II – Rücklaufquoten

In Tabelle 4-1 und Tabelle 4-2 sind die Rücklaufquoten zum Vineland-II für die Studien GWEP1414 und GWEP1423 dargestellt. Es zeigt sich, dass nicht in allen Subskalen/Scores die Rücklaufquote von 70 % zu Behandlungsende erreicht wird. Daher wurde auf eine Analyse des Endpunktes verzichtet.

Tabelle 4-1: Anteil der Patienten mit Bewertung des Vineland-II zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1414 (ITT-Population)

GWEP1414	Vineland-II			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Kommunikation: aufnehmend, v-Scale Score				
Tag 1	21/37 (56,8)	27/36 (75,0)	27/37 (73,0)	55/76 (72,4)
Behandlungsende	24/37 (64,9)	20/36 (55,6)	28/37 (75,7)	60/76 (78,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	20/37 (54,1)	18/36 (50,0)	22/37 (59,5)	47/76 (61,8)
Vineland-II Kommunikation: ausdrückend, v-Scale Score				
Tag 1	16/37 (43,2)	23/36 (63,9)	24/37 (64,9)	50/76 (65,8)
Behandlungsende	20/37 (54,1)	23/36 (63,9)	27/37 (73,0)	59/76 (77,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	15/37 (40,5)	20/36 (55,6)	20/37 (54,1)	46/76 (60,5)
Vineland-II Kommunikation: schriftlich, v-Scale Score				
Tag 1	25/37 (67,6)	28/36 (77,8)	32/37 (86,5)	65/76 (85,5)
Behandlungsende	24/37 (64,9)	20/36 (55,6)	29/37 (78,4)	65/76 (85,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	21/37 (56,8)	19/36 (52,8)	28/37 (75,7)	60/76 (78,9)
Vineland-II Kommunikationsdomäne, Standardscore				
Tag 1	15/37 (40,5)	23/36 (63,9)	24/37 (64,9)	49/76 (64,5)
Behandlungsende	17/37 (45,9)	18/36 (50,0)	26/37 (70,3)	56/76 (73,7)
Behandlungsende <sup>c</sup>	13/37 (35,1)	16/36 (44,4)	21/37 (56,8)	45/76 (59,2)

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

GWEP1414	Vineland-II			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten: persönlich, v-Scale Score				
Tag 1	24/37 (64,9)	25/36 (69,4)	30/37 (81,1)	58/76 (76,3)
Behandlungsende	24/37 (64,9)	21/36 (58,3)	26/37 (70,3)	59/76 (77,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	19/37 (51,4)	19/36 (52,8)	24/37 (64,9)	52/76 (68,4)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten: häuslich, v-Scale Score				
Tag 1	24/37 (64,9)	27/36 (75)	32/37 (86,5)	63/76 (82,9)
Behandlungsende	26/37 (70,3)	20/36 (55,6)	29/37 (78,4)	61/76 (80,3)
Behandlungsende <sup>c</sup>	21/37 (56,8)	19/36 (52,8)	27/37 (73)	56/76 (73,7)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten: Gemeinschaft, v-Scale Score				
Tag 1	21/37 (56,8)	28/36 (77,8)	27/37 (73,0)	57/76 (75,0)
Behandlungsende	22/37 (59,5)	21/36 (58,3)	26/37 (70,3)	60/76 (78,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	17/37 (45,9)	20/36 (55,6)	24/37 (64,9)	53/76 (69,7)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten-Domäne, Standardscore				
Tag 1	20/37 (54,1)	25/36 (69,4)	27/37 (73)	53/76 (69,7)
Behandlungsende	22/37 (59,5)	19/36 (52,8)	26/37 (70,3)	56/76 (73,7)
Behandlungsende <sup>c</sup>	17/37 (45,9)	17/36 (47,2)	24/37 (64,9)	48/76 (63,2)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten: zwischenmenschliche Beziehungen, v-Scale Score				
Tag 1	19/37 (51,4)	26/36 (72,2)	26/37 (70,3)	51/76 (67,1)
Behandlungsende	21/37 (56,8)	20/36 (55,6)	26/37 (70,3)	54/76 (71,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	16/37 (43,2)	18/36 (50)	22/37 (59,5)	46/76 (60,5)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten: Spiel und Freizeit, v-Scale Score				
Tag 1	17/37 (45,9)	26/36 (72,2)	22/37 (59,5)	47/76 (61,8)
Behandlungsende	23/37 (62,2)	15/36 (41,7)	25/37 (67,6)	52/76 (68,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	16/37 (43,2)	14/36 (38,9)	19/37 (51,4)	42/76 (55,3)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten: Bewältigungsfähigkeiten, v-Scale Score				
Tag 1	28/37 (75,7)	30/36 (83,3)	32/37 (86,5)	68/76 (89,5)
Behandlungsende	31/37 (83,8)	23/36 (63,9)	31/37 (83,8)	68/76 (89,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	26/37 (70,3)	22/36 (61,1)	29/37 (78,4)	63/76 (82,9)

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

GWEP1414	Vineland-II			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten Domäne, Standardscore				
Tag 1	13/37 (35,1)	23/36 (63,9)	23/37 (62,2)	48/76 (63,2)
Behandlungsende	20/37 (54,1)	16/36 (44,4)	25/37 (67,6)	53/76 (69,7)
Behandlungsende <sup>c</sup>	12/37 (32,4)	14/36 (38,9)	20/37 (54,1)	43/76 (56,6)
Vineland-II Motorische Fähigkeiten: grobmotorisch, v-Scale Score				
Tag 1	17/37 (45,9)	22/36 (61,1)	25/37 (67,6)	52/76 (68,4)
Behandlungsende	19/37 (51,4)	19/36 (52,8)	23/37 (62,2)	53/76 (69,7)
Behandlungsende <sup>c</sup>	14/37 (37,8)	16/36 (44,4)	21/37 (56,8)	45/76 (59,2)
Vineland-II Motorische Fähigkeiten: feinmotorisch, v-Scale Score				
Tag 1	19/37 (51,4)	24/36 (66,7)	26/37 (70,3)	51/76 (67,1)
Behandlungsende	21/37 (56,8)	20/36 (55,6)	25/37 (67,6)	55/76 (72,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	17/37 (45,9)	18/36 (50)	23/37 (62,2)	46/76 (60,5)
Vineland-II Motorische Fähigkeiten Domäne, Standardscore				
Tag 1	17/37 (45,9)	21/36 (58,3)	24/37 (64,9)	48/76 (63,2)
Behandlungsende	19/37 (51,4)	19/36 (52,8)	23/37 (62,2)	51/76 (67,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	14/37 (37,8)	16/36 (44,4)	21/37 (56,8)	42/76 (55,3)
Vineland-II Adaptives Verhalten, zusammengesetzter Standardscore				
Tag 1	12/37 (32,4)	20/36 (55,6)	22/37 (59,5)	46/76 (60,5)
Behandlungsende	16/37 (43,2)	16/36 (44,4)	24/37 (64,9)	52/76 (68,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	10/37 (27)	14/36 (38,9)	19/37 (51,4)	41/76 (53,9)
Vineland-II Index für fehlangepasstes Verhalten: Internalisierung, v-Scale Score				
Tag 1	36/37 (97,3)	30/36 (83,3)	32/37 (86,5)	65/76 (85,5)
Behandlungsende	27/37 (73)	27/36 (75)	25/37 (67,6)	56/76 (73,7)
Behandlungsende <sup>c</sup>	27/37 (73)	24/36 (66,7)	23/37 (62,2)	50/76 (65,8)
Vineland-II Index für fehlangepasstes Verhalten: Externalisierung, v-Scale Score				
Tag 1	35/37 (94,6)	30/36 (83,3)	32/37 (86,5)	67/76 (88,2)
Behandlungsende	27/37 (73)	26/36 (72,2)	26/37 (70,3)	60/76 (78,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	27/37 (73)	25/36 (69,4)	24/37 (64,9)	55/76 (72,4)

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

GWEP1414	Vineland-II			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Index für fehlangepasstes Verhalten, v-Scale Score				
Tag 1	32/37 (86,5)	24/36 (66,7)	29/37 (78,4)	62/76 (81,6)
Behandlungsende	23/37 (62,2)	24/36 (66,7)	19/37 (51,4)	48/76 (63,2)
Behandlungsende <sup>c</sup>	21/37 (56,8)	20/36 (55,6)	17/37 (45,9)	43/76 (56,6)
<p>a: Enthält nur Patienten, die gemäß Zulassung von Epidyolex® gleichzeitig Clobazam erhalten haben.  b: Enthält nur Patienten der PIAT + Placebo-Gruppe, die gleichzeitig Clobazam erhalten haben.  c: Patienten mit Wert zu Baseline und zum Behandlungsende.  N = Grundgesamtheit der Population; n = Größe der Stichprobe; PIAT = Patientenindividuelle anfallssuppressive Therapie  Quelle: CSR GWEP1414 Tabellen 12.1 12.3, Zusatzanalysen GWEP1414 [1, 2]</p>				

Tabelle 4-2: Anteil der Patienten mit Bewertung des Vineland-II zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1423 (ITT-Population)

GWEP1423	Vineland-II		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Kommunikation: aufnehmend, v-Scale Score			
Tag 1	37/42 (88,1)	33/42 (78,6)	63/85 (74,1)
Behandlungsende	34/42 (81,0)	34/42 (81,0)	70/85 (82,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	32/42 (76,2)	30/42 (71,4)	56/85 (65,9)
Vineland-II Kommunikation: ausdrückend, v-Scale Score			
Tag 1	34/42 (81,0)	36/42 (85,7)	66/85 (77,6)
Behandlungsende	27/42 (64,3)	35/42 (83,3)	67/85 (78,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	26/42 (61,9)	33/42 (78,6)	56/85 (65,9)
Vineland-II Kommunikation: schriftlich, v-Scale Score -			
Tag 1	35/42 (83,3)	38/42 (90,5)	70/85 (82,4)
Behandlungsende	30/42 (71,4)	38/42 (90,5)	74/85 (87,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	28/42 (66,7)	36/42 (85,7)	62/85 (72,9)

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

GWEP1423	Vineland-II		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Kommunikationsdomäne, Standardscore			
Tag 1	30/42 (71,4)	33/42 (78,6)	58/85 (68,2)
Behandlungsende	26/42 (61,9)	31/42 (73,8)	59/85 (69,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	23/42 (54,8)	27/42 (64,3)	45/85 (52,9)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten: persönlich, v-Scale Score			
Tag 1	31/42 (73,8)	36/42 (85,7)	69/85 (81,2)
Behandlungsende	28/42 (66,7)	37/42 (88,1)	73/85 (85,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	26/42 (61,9)	34/42 (81,0)	62/85 (72,9)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten: häuslich, v-Scale Score			
Tag 1	33/42 (78,6)	36/42 (85,7)	65/85 (76,5)
Behandlungsende	33/42 (78,6)	38/42 (90,5)	72/85 (84,7)
Behandlungsende <sup>c</sup>	28/42 (66,7)	35/42 (83,3)	58/85 (68,2)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten: Gemeinschaft, v-Scale Score			
Tag 1	33/42 (78,6)	38/42 (90,5)	67/85 (78,8)
Behandlungsende	31/42 (73,8)	37/42 (88,1)	71/85 (83,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	28/42 (66,7)	36/42 (85,7)	62/85 (72,9)
Vineland-II Alltagsfertigkeiten-Domäne, Standardscore			
Tag 1	29/42 (69,0)	35/42 (83,3)	60/85 (70,6)
Behandlungsende	27/42 (64,3)	35/42 (83,3)	64/85 (75,3)
Behandlungsende <sup>c</sup>	22/42 (52,4)	31/42 (73,8)	51/85 (60,0)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten: zwischenmenschliche Beziehungen, v-Scale Score			
Tag 1	33/42 (78,6)	32/42 (76,2)	57/85 (67,1)
Behandlungsende	30/42 (71,4)	33/42 (78,6)	65/85 (76,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	27/42 (64,3)	30/42 (71,4)	48/85 (56,5)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten: Spiel und Freizeit, v-Scale Score			
Tag 1	27/42 (64,3)	36/42 (85,7)	68/85 (80,0)
Behandlungsende	30/42 (71,4)	33/42 (78,6)	68/85 (80,0)
Behandlungsende <sup>c</sup>	22/42 (52,4)	30/42 (71,4)	55/85 (64,7)

GWEP1423	Vineland-II		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten: Bewältigungsfähigkeiten, v-Scale Score			
Tag 1	33/42 (78,6)	37/42 (88,1)	72/85 (84,7)
Behandlungsende	30/42 (71,4)	37/42 (88,1)	67/85 (78,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	27/42 (64,3)	34/42 (81,0)	61/85 (71,8)
Vineland-II Soziale Fähigkeiten Domäne, Standardscore			
Tag 1	28/42 (66,7)	31/42 (73,8)	54/85 (63,5)
Behandlungsende	27/42 (64,3)	31/42 (73,8)	59/85 (69,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	22/42 (52,4)	26/42 (61,9)	43/85 (50,6)
Vineland-II Motorische Fähigkeiten: grobmotorisch, v-Scale Score			
Tag 1	34/42 (81,0)	35/42 (83,3)	62/85 (72,9)
Behandlungsende	30/42 (71,4)	36/42 (85,7)	70/85 (82,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	27/42 (64,3)	33/42 (78,6)	55/85 (64,7)
Vineland-II Motorische Fähigkeiten: feinmotorisch, v-Scale Score			
Tag 1	29/42 (69,0)	35/42 (83,3)	63/85 (74,1)
Behandlungsende	26/42 (61,9)	37/42 (88,1)	69/85 (81,2)
Behandlungsende <sup>c</sup>	23/42 (54,8)	33/42 (78,6)	55/85 (64,7)
Vineland-II Motorische Fähigkeiten Domäne, Standardscore			
Tag 1	28/42 (66,7)	33/42 (78,6)	57/85 (67,1)
Behandlungsende	24/42 (57,1)	36/42 (85,7)	65/85 (76,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	21/42 (50,0)	31/42 (73,8)	50/85 (58,8)
Vineland-II Adaptives Verhalten, zusammengesetzter Standardscore			
Tag 1	26/42 (61,9)	31/42 (73,8)	51/85 (60,0)
Behandlungsende	25/42 (59,5)	31/42 (73,8)	57/85 (67,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	19/42 (45,2)	26/42 (61,9)	42/85 (49,4)
Vineland-II Index für fehlangepasstes Verhalten: Internalisierung, v-Scale Score			
Tag 1	35/42 (83,3)	37/42 (88,1)	72/85 (84,7)
Behandlungsende	33/42 (78,6)	35/42 (83,3)	73/85 (85,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	30/42 (71,4)	33/42 (78,6)	66/85 (77,6)

GWEP1423	Vineland-II		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
Vineland-II Index für fehlangepasstes Verhalten: Externalisierung, v-Scale Score			
Tag 1	36/42 (85,7)	32/42 (76,2)	68/85 (80,0)
Behandlungsende	33/42 (78,6)	32/42 (76,2)	65/85 (76,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	31/42 (73,8)	29/42 (69,0)	60/85 (70,6)
Vineland-II Index für fehlangepasstes Verhalten, v-Scale Score			
Tag 1	31/42 (73,8)	26/42 (61,9)	57/85 (67,1)
Behandlungsende	31/42 (73,8)	30/42 (71,4)	57/85 (67,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	25/42 (59,5)	24/42 (57,1)	48/85 (56,5)
<p>a: Enthält nur Patienten, die gemäß Zulassung von Epidyolex® gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>b: Enthält nur Patienten der PIAT + Placebo-Gruppe, die gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>c: Patienten mit Wert zu Baseline und zum Behandlungsende.</p> <p>N = Grundgesamtheit der Population; n = Größe der Stichprobe; PIAT = Patientenindividuelle anfallssuppressive Therapie</p> <p>Quelle: CSR GWEP1423 Tabellen 12.1 12.3, Zusatzanalysen GWEP1423 [2, 3]</p>			

#### 4.1.2 Endpunkt QOLCE / QOLIE – Rücklaufquoten

In Tabelle 4-3 bis Tabelle 4-6 sind die Rücklaufquoten zum QOLCE / QOLIE für die Studien GWEP1414 und GWEP1423 dargestellt. Es zeigt sich, dass nicht in allen Subskalen die Rücklaufquote von 70 % zu Behandlungsende erreicht wird. Daher wurde auf eine Analyse des Endpunktes verzichtet.

Tabelle 4-3: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLCE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1414 (ITT-Population)

GWEP1414	QOLCE			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLCE Subskala: Physische Einschränkungen				
Tag 1	29/37 (78,4)	23/36 (63,9)	27/37 (73)	55/76 (72,4)
Behandlungsende	27/37 (73)	20/36 (55,6)	28/37 (75,7)	48/76 (63,2)
Behandlungsende <sup>c</sup>	25/37 (67,6)	18/36 (50)	22/37 (59,5)	41/76 (53,9)
QOLCE Subskala: Energie/Müdigkeit				
Tag 1	30/37 (81,1)	25/36 (69,4)	32/37 (86,5)	59/76 (77,6)
Behandlungsende	30/37 (81,1)	22/36 (61,1)	28/37 (75,7)	51/76 (67,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	27/37 (73,0)	21/36 (58,3)	26/37 (70,3)	48/76 (63,2)
QOLCE Subskala: Aufmerksamkeit/Konzentration				
Tag 1	24/37 (64,9)	16/36 (44,4)	26/37 (70,3)	48/76 (63,2)
Behandlungsende	22/37 (59,5)	19/36 (52,8)	21/37 (56,8)	38/76 (50,0)
Behandlungsende <sup>c</sup>	19/37 (51,4)	14/36 (38,9)	19/37 (51,4)	35/76 (46,1)
QOLCE Subskala: Gedächtnis				
Tag 1	16/37 (43,2)	10/36 (27,8)	9/37 (24,3)	22/76 (28,9)
Behandlungsende	14/37 (37,8)	14/36 (38,9)	12/37 (32,4)	22/76 (28,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	10/37 (27,0)	8/36 (22,2)	8/37 (21,6)	16/76 (21,1)
QOLCE Subskala: Sprache				
Tag 1	16/37 (43,2)	13/36 (36,1)	13/37 (35,1)	29/76 (38,2)
Behandlungsende	15/37 (40,5)	12/36 (33,3)	16/37 (43,2)	28/76 (36,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	12/37 (32,4)	10/36 (27,8)	10/37 (27,0)	20/76 (26,3)

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

GWEP1414	QOLCE			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLCE Subskala: Andere kognitive Fähigkeiten				
Tag 1	22/37 (59,5)	14/36 (38,9)	22/37 (59,5)	45/76 (59,2)
Behandlungsende	20/37 (54,1)	17/36 (47,2)	19/37 (51,4)	36/76 (47,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	17/37 (45,9)	11/36 (30,6)	16/37 (43,2)	33/76 (43,4)
QOLCE Subskala: Depression				
Tag 1	22/37 (59,5)	13/36 (36,1)	20/37 (54,1)	42/76 (55,3)
Behandlungsende	24/37 (64,9)	16/36 (44,4)	22/37 (59,5)	40/76 (52,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	17/37 (45,9)	9/36 (25,0)	16/37 (43,2)	33/76 (43,4)
QOLCE Subskala: Angst				
Tag 1	14/37 (37,8)	13/36 (36,1)	13/37 (35,1)	34/76 (44,7)
Behandlungsende	20/37 (54,1)	14/36 (38,9)	18/37 (48,6)	31/76 (40,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	11/37 (29,7)	10/36 (27,8)	10/37 (27)	23/76 (30,3)
QOLCE Subskala: Kontrolle/Hilflosigkeit				
Tag 1	21/37 (56,8)	15/36 (41,7)	20/37 (54,1)	40/76 (52,6)
Behandlungsende	22/37 (59,5)	14/36 (38,9)	20/37 (54,1)	32/76 (42,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	16/37 (43,2)	11/36 (30,6)	15/37 (40,5)	27/76 (35,5)
QOLCE Subskala: Selbstwertgefühl				
Tag 1	14/37 (37,8)	12/36 (33,3)	11/37 (29,7)	27/76 (35,5)
Behandlungsende	19/37 (51,4)	11/36 (30,6)	17/37 (45,9)	27/76 (35,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	10/37 (27,0)	9/36 (25,0)	9/37 (24,3)	17/76 (22,4)
QOLCE Subskala: Soziale Interaktionen				
Tag 1	28/37 (75,7)	20/36 (55,6)	23/37 (62,2)	48/76 (63,2)
Behandlungsende	25/37 (67,6)	19/36 (52,8)	24/37 (64,9)	44/76 (57,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	21/37 (56,8)	15/36 (41,7)	18/37 (48,6)	37/76 (48,7)
QOLCE Subskala: Soziale Aktivitäten				
Tag 1	31/37 (83,8)	21/36 (58,3)	27/37 (73,0)	55/76 (72,4)
Behandlungsende	29/37 (78,4)	20/36 (55,6)	29/37 (78,4)	50/76 (65,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	28/37 (75,7)	17/36 (47,2)	24/37 (64,9)	45/76 (59,2)

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

GWEP1414	QOLCE			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLCE Subskala: Stigma				
Tag 1	30/37 (81,1)	21/36 (58,3)	26/37 (70,3)	53/76 (69,7)
Behandlungsende	25/37 (67,6)	19/36 (52,8)	26/37 (70,3)	45/76 (59,2)
Behandlungsende <sup>c</sup>	23/37 (62,2)	16/36 (44,4)	22/37 (59,5)	41/76 (53,9)
QOLCE Subskala: Verhalten				
Tag 1	24/37 (64,9)	19/36 (52,8)	23/37 (62,2)	46/76 (60,5)
Behandlungsende	23/37 (62,2)	19/36 (52,8)	23/37 (62,2)	42/76 (55,3)
Behandlungsende <sup>c</sup>	20/37 (54,1)	15/36 (41,7)	19/37 (51,4)	38/76 (50,0)
QOLCE Subskala: Allgemeine Gesundheit				
Tag 1	33/37 (89,2)	25/36 (69,4)	34/37 (91,9)	64/76 (84,2)
Behandlungsende	31/37 (83,8)	23/36 (63,9)	31/37 (83,8)	55/76 (72,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	31/37 (83,8)	22/36 (61,1)	31/37 (83,8)	55/76 (72,4)
QOLCE Subskala: Lebensqualität				
Tag 1	33/37 (89,2)	25/36 (69,4)	34/37 (91,9)	64/76 (84,2)
Behandlungsende	31/37 (83,8)	23/36 (63,9)	31/37 (83,8)	56/76 (73,7)
Behandlungsende <sup>c</sup>	31/37 (83,8)	22/36 (61,1)	31/37 (83,8)	56/76 (73,7)
QOLCE: Gesamt-Lebensqualität				
Tag 1	26/37 (70,3)	18/36 (50)	23/37 (62,2)	48/76 (63,2)
Behandlungsende	24/37 (64,9)	18/36 (50)	23/37 (62,2)	43/76 (56,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	22/37 (59,5)	14/36 (38,9)	19/37 (51,4)	38/76 (50,0)
<p>a: Enthält nur Patienten, die gemäß Zulassung von Epidyolex® gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>b: Enthält nur Patienten der PIAT + Placebo-Gruppe, die gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>c: Patienten mit Wert zu Baseline und zum Behandlungsende.</p> <p>N = Grundgesamtheit der Population; n = Größe der Stichprobe; PIAT = Patientenindividuelle anfallssuppressive Therapie; QOLCE = Lebensqualität in kindlicher Epilepsie (Quality of Life in Childhood Epilepsy)</p> <p>Quelle: CSR GWEP1414 Tabellen 12.1 12.3, Zusatzanalysen GWEP1414 [1, 2]</p>				

Tabelle 4-4: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLCE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1423 (ITT-Population)

GWEP1423	QOLCE		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLCE Subskala: Physische Einschränkungen			
Tag 1	29/42 (69,0)	34/42 (81,0)	58/85 (68,2)
Behandlungsende	24/42 (57,1)	34/42 (81,0)	57/85 (67,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	21/42 (50,0)	30/42 (71,4)	51/85 (60,0)
QOLCE Subskala: Energie/Müdigkeit			
Tag 1	33/42 (78,6)	36/42 (85,7)	65/85 (76,5)
Behandlungsende	28/42 (66,7)	37/42 (88,1)	65/85 (76,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	27/42 (64,3)	34/42 (81,0)	60/85 (70,6)
QOLCE Subskala: Aufmerksamkeit/Konzentration			
Tag 1	19/42 (45,2)	20/42 (47,6)	42/85 (49,4)
Behandlungsende	19/42 (45,2)	22/42 (52,4)	44/85 (51,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	14/42 (33,3)	15/42 (35,7)	34/85 (40,0)
QOLCE Subskala: Gedächtnis			
Tag 1	12/42 (28,6)	8/42 (19,0)	21/85 (24,7)
Behandlungsende	13/42 (31,0)	8/42 (19,0)	22/85 (25,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	8/42 (19,0)	4/42 (9,5)	15/85 (17,6)
QOLCE Subskala: Sprache			
Tag 1	14/42 (33,3)	10/42 (23,8)	22/85 (25,9)
Behandlungsende	16/42 (38,1)	15/42 (35,7)	29/85 (34,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	12/42 (28,6)	8/42 (19,0)	17/85 (20,0)
QOLCE Subskala: Andere kognitive Fähigkeiten			
Tag 1	18/42 (42,9)	20/42 (47,6)	37/85 (43,5)
Behandlungsende	16/42 (38,1)	20/42 (47,6)	40/85 (47,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	12/42 (28,6)	13/42 (31,0)	28/85 (32,9)
QOLCE Subskala: Depression			
Tag 1	20/42 (47,6)	19/42 (45,2)	38/85 (44,7)
Behandlungsende	20/42 (47,6)	23/42 (54,8)	44/85 (51,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	15/42 (35,7)	14/42 (33,3)	30/85 (35,3)

GWEP1423	QOLCE		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLCE Subskala: Angst			
Tag 1	13/42 (31,0)	11/42 (26,2)	25/85 (29,4)
Behandlungsende	14/42 (33,3)	18/42 (42,9)	30/85 (35,3)
Behandlungsende <sup>c</sup>	9/42 (21,4)	9/42 (21,4)	19/85 (22,4)
QOLCE Subskala: Kontrolle/Hilflosigkeit			
Tag 1	17/42 (40,5)	13/42 (31)	29/85 (34,1)
Behandlungsende	15/42 (35,7)	18/42 (42,9)	33/85 (38,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	10/42 (23,8)	9/42 (21,4)	21/85 (24,7)
QOLCE Subskala: Selbstwertgefühl			
Tag 1	12/42 (28,6)	10/42 (23,8)	26/85 (30,6)
Behandlungsende	15/42 (35,7)	17/42 (40,5)	30/85 (35,3)
Behandlungsende <sup>c</sup>	9/42 (21,4)	7/42 (16,7)	18/85 (21,2)
QOLCE Subskala: Soziale Interaktionen			
Tag 1	24/42 (57,1)	31/42 (73,8)	55/85 (64,7)
Behandlungsende	22/42 (52,4)	32/42 (76,2)	53/85 (62,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	17/42 (40,5)	27/42 (64,3)	46/85 (54,1)
QOLCE Subskala: Soziale Aktivitäten			
Tag 1	30/42 (71,4)	36/42 (85,7)	62/85 (72,9)
Behandlungsende	24/42 (57,1)	35/42 (83,3)	59/85 (69,4)
Behandlungsende <sup>c</sup>	22/42 (52,4)	33/42 (78,6)	56/85 (65,9)
QOLCE Subskala: Stigma			
Tag 1	27/42 (64,3)	31/42 (73,8)	55/85 (64,7)
Behandlungsende	23/42 (54,8)	33/42 (78,6)	56/85 (65,9)
Behandlungsende <sup>c</sup>	20/42 (47,6)	28/42 (66,7)	47/85 (55,3)
QOLCE Subskala: Verhalten			
Tag 1	21/42 (50,0)	24/42 (57,1)	48/85 (56,5)
Behandlungsende	21/42 (50,0)	26/42 (61,9)	47/85 (55,3)
Behandlungsende <sup>c</sup>	17/42 (40,5)	21/42 (50,0)	41/85 (48,2)

GWEP1423	QOLCE		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLCE Subskala: Allgemeine Gesundheit			
Tag 1	34/42 (81,0)	36/42 (85,7)	65/85 (76,5)
Behandlungsende	29/42 (69,0)	39/42 (92,9)	69/85 (81,2)
Behandlungsende <sup>c</sup>	28/42 (66,7)	35/42 (83,3)	63/85 (74,1)
QOLCE Subskala: Lebensqualität			
Tag 1	34/42 (81,0)	36/42 (85,7)	63/85 (74,1)
Behandlungsende	29/42 (69,0)	38/42 (90,5)	67/85 (78,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	28/42 (66,7)	34/42 (81,0)	59/85 (69,4)
QOLCE: Gesamt-Lebensqualität			
Tag 1	21/42 (50,0)	24/42 (57,1)	47/85 (55,3)
Behandlungsende	19/42 (45,2)	26/42 (61,9)	46/85 (54,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	15/42 (35,7)	20/42 (47,6)	38/85 (44,7)
<p>a: Enthält nur Patienten, die gemäß Zulassung von Epidyolex® gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>b: Enthält nur Patienten der PIAT + Placebo-Gruppe, die gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>c: Patienten mit Wert zu Baseline und zum Behandlungsende.</p> <p>N = Grundgesamtheit der Population; n = Größe der Stichprobe; PIAT = Patientenindividuelle anfallssuppressive Therapie; QOLCE = Lebensqualität in kindlicher Epilepsie (Quality of Life in Childhood Epilepsy)</p> <p>Quelle: CSR GWEP1423 Tabellen 12.1 12.3, Zusatzanalysen GWEP1423 [2, 3]</p>			

Tabelle 4-5: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLIE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1414 (ITT-Population)

GWEP1414	QUOLIE			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLIE-31-P Subskala: Energie/Müdigkeit				
Tag 1	8/37 (21,6)	12/3 (33,3)	5/37 (13,5)	14/76 (18,4)
Behandlungsende	6/37 (16,2)	11/3 (30,6)	4/37 (10,8)	13/76 (17,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/37 (16,2)	8/3 (22,2)	4/37 (10,8)	11/76 (14,5)
QOLIE-31-P Subskala: Stimmung				
Tag 1	8/37 (21,6)	12/3 (33,3)	5/37 (13,5)	14/76 (18,4)
Behandlungsende	6/37 (16,2)	11/3 (30,6)	4/37 (10,8)	13/76 (17,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/37 (16,2)	8/3 (22,2)	4/37 (10,8)	11/76 (14,5)
QOLIE-31-P Subskala: Tägliche Aktivitäten				
Tag 1	8/37 (21,6)	12/3 (33,3)	5/37 (13,5)	13/76 (17,1)
Behandlungsende	5/37 (13,5)	11/3 (30,6)	4/37 (10,8)	13/76 (17,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	5/37 (13,5)	8/3 (22,2)	4/37 (10,8)	10/76 (13,2)
QOLIE-31-P Subskala: Kognition				
Tag 1	8/37 (21,6)	12/3 (33,3)	4/37 (10,8)	11/76 (14,5)
Behandlungsende	6/37 (16,2)	10/3 (27,8)	4/37 (10,8)	13/76 (17,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/37 (16,2)	7/3 (19,4)	4/37 (10,8)	9/76 (11,8)
QOLIE-31-P Subskala: Medikationseffekte				
Tag 1	8/37 (21,6)	12/3 (33,3)	4/37 (10,8)	12/76 (15,8)
Behandlungsende	6/37 (16,2)	11/3 (30,6)	4/37 (10,8)	13/76 (17,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/37 (16,2)	8/3 (22,2)	4/37 (10,8)	10/76 (13,2)
QOLIE-31-P Subskala: Sorgen wegen Krampfanfälle				
Tag 1	8/37 (21,6)	12/3 (33,3)	5/37 (13,5)	13/76 (17,1)
Behandlungsende	6/37 (16,2)	10/3 (27,8)	4/37 (10,8)	13/76 (17,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/37 (16,2)	7/3 (19,4)	4/37 (10,8)	10/76 (13,2)
QOLIE-31-P Subskala: Gesamt-Lebensqualität				
Tag 1	8/37 (21,6)	10/3 (27,8)	4/37 (10,8)	12/76 (15,8)
Behandlungsende	6/37 (16,2)	11/3 (30,6)	4/37 (10,8)	12/76 (15,8)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/37 (16,2)	7/3 (19,4)	3/37 (8,1)	9/76 (11,8)

GWEP1414	QOLIE			
	Epidyolex® 10 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 37)	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 36)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 37)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 76)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLIE-31-P: Gesamtscore				
Tag 1	8/37 (21,6)	12/3 (33,3)	5/37 (13,5)	13/76 (17,1)
Behandlungsende	6/37 (16,2)	11/3 (30,6)	4/37 (10,8)	13/76 (17,1)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/37 (16,2)	8/3 (22,2)	4/37 (10,8)	10/76 (13,2)
<p>a: Enthält nur Patienten, die gemäß Zulassung von Epidyolex® gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>b: Enthält nur Patienten der PIAT + Placebo-Gruppe, die gleichzeitig Clobazam erhalten haben.</p> <p>c: Patienten mit Wert zu Baseline und zum Behandlungsende.</p> <p>N = Grundgesamtheit der Population; n = Größe der Stichprobe; PIAT = Patientenindividuelle anfallssuppressive Therapie; QOLIE = Lebensqualität in Epilepsie (Quality of Life in Epilepsy)</p> <p>Quelle: Quelle: CSR GWEP1414 Tabellen 12.1 12.3, Zusatzanalysen GWEP1414 [1, 2]</p>				

Tabelle 4-6: Anteil der Patienten mit Bewertung des QOLIE zu Baseline und Behandlungsende für die Studie GWEP1423 (ITT-Population)

GWEP1423	QOLIE		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLIE-31-P Subskala: Energie/Müdigkeit			
Tag 1	11/42 (26,2)	4/42 (9,5)	17/85 (20)
Behandlungsende	7/42 (16,7)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	7/42 (16,7)	3/42 (7,1)	14/85 (16,5)
QOLIE-31-P Subskala: Stimmung			
Tag 1	11/42 (26,2)	4/42 (9,5)	18/85 (21,2)
Behandlungsende	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
QOLIE-31-P Subskala: Tägliche Aktivitäten			
Tag 1	10/42 (23,8)	4/42 (9,5)	18/85 (21,2)
Behandlungsende	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
QOLIE-31-P Subskala: Kognition			
Tag 1	9/42 (21,4)	4/42 (9,5)	18/85 (21,2)
Behandlungsende	5/42 (11,9)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	5/42 (11,9)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
QOLIE-31-P Subskala: Medikationseffekte			
Tag 1	8/42 (19,0)	4/42 (9,5)	17/85 (20,0)
Behandlungsende	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	14/85 (16,5)
QOLIE-31-P Subskala: Sorgen wegen Krampfanfälle			
Tag 1	9/42 (21,4)	4/42 (9,5)	17/85 (20,0)
Behandlungsende	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	14/85 (16,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	14/85 (16,5)
QOLIE-31-P Subskala: Gesamt-Lebensqualität			
Tag 1	9/42 (21,4)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
Behandlungsende	5/42 (11,9)	2/42 (4,8)	14/85 (16,5)
Behandlungsende <sup>c</sup>	5/42 (11,9)	2/42 (4,8)	12/85 (14,1)

GWEP1423	QOLIE		
	Epidyolex® 20 mg/kg/Tag <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>a</sup> (N = 42)	PIAT + Placebo <sup>b</sup> (N = 85)
Subskala / Score	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)	Rücklaufquote n/N (%)
QOLIE-31-P: Gesamtscore			
Tag 1	9/42 (21,4)	4/42 (9,5)	17/85 (20,0)
Behandlungsende	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	15/85 (17,6)
Behandlungsende <sup>c</sup>	6/42 (14,3)	3/42 (7,1)	14/85 (16,5)
<p>a: Enthält nur Patienten, die gemäß Zulassung von Epidyolex® gleichzeitig Clobazam erhalten haben.  b: Enthält nur Patienten der PIAT + Placebo-Gruppe, die gleichzeitig Clobazam erhalten haben.  c: Patienten mit Wert zu Baseline und zum Behandlungsende.  N = Grundgesamtheit der Population; n = Größe der Stichprobe; PIAT = Patientenindividuelle anfallssuppressive Therapie; QOLIE = Lebensqualität in Epilepsie (Quality of Life in Epilepsy)  Quelle: CSR GWEP1423 Tabellen 12.1 12.3, Zusatzanalysen GWEP1423 [2, 3]</p>			

## 4.2 Referenzliste

1. GW Pharma (International) B.V., A randomized, double-blind, placebo- controlled study to investigate the efficacy and safety of cannabidiol (GWP42003-P; CBD) as adjunctive treatment for seizures associated with Lennox–Gastaut syndrome in children and adults. (CSR-GWEP1414) Tables 12.1 12.3 [Aufgerufen am: 22.01.2024]. 2018

2. Jazz Pharmaceuticals, Zusatzanalysen GWEP1414, GWEP1423; Rücklaufquoten QOLCE, Vineland-II (In-Label Population). [Aufgerufen am: 22.01.2024]. 2024

3. GW Pharma (International) B.V., A randomized, double-blind, placebo-controlled study to investigate the efficacy and safety of cannabidiol (GWP42003-P; CBD) as adjunctive treatment for seizures associated with Lennox–Gastaut syndrome in children and adults. (CSR-GWEP1423) Tables 12.1 12.3 [Aufgerufen am: 22.01.2024]. 2018