



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/359531/2014
EMA/H/C/000664

EPAR - sammendrag for offentligheden

Diacomit

stiripentol

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Diacomit. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om, hvordan Diacomit skal anvendes.

Hvad er Diacomit?

Diacomit er et antiepileptisk lægemiddel, der indeholder det aktive stof stiripentol. Det fås som kapsler og breve (250 og 500 mg). Brevene indeholder et pulver, som anvendes til at fremstille en oral suspension (en væske med partikler af faststoffer).

Hvad anvendes Diacomit til?

Diacomit anvendes til børn med en meget sjælden type epilepsi kaldet »svær myoklon epilepsi i barndommen« (SMEI), også kendt som Dravets syndrom. Denne type epilepsi forekommer første gang hos små børn i løbet af det første leveår. Diacomit anvendes som tillægsbehandling til clobazam og valproat (andre epilepsilægemidler) til behandling af generaliserede tonisk-kloniske anfald (alvorlige krampeanfald med tab af bevidsthed) i tilfælde, hvor disse ikke kan kontrolleres tilstrækkeligt med clobazam og valproat.

Da antallet af patienter med SMEI er lavt, betragtes sygdommen som »sjælden«, og Diacomit blev udpeget som »lægemiddel til sjældne sygdomme« den 5. december 2001.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Diacomit?

Behandling med Diacomit må kun gives under overvågning af en læge med speciale i diagnosticering og behandling af epilepsi hos børn (en pædiater eller pædiatrisk neurolog). Den anbefalede dosis er



50 mg pr. kg legemsvægt fordelt på to eller tre doser i løbet af dagen. Behandlingen indledes med en dosis på 20 mg pr. kg. legemsvægt, som gradvist øges til den anbefalede dosis i løbet af et antal uger afhængig af patientens alder. Efter at behandlingen med Diacomit påbegyndes, skal dosis af clobazam muligvis nedsættes. Dosis af valproat kræver normalt ingen justering.

Hovedundersøgelserne af Diacomit omfattede børn over tre år. Beslutningerne om anvendelsen af Diacomit til små børn skal træffes ud fra hvert enkelt tilfælde. Lægemidlet må kun gives til små børn, hvis diagnosen SMEI er blevet bekræftet.

Diacomit skal gives sammen med mad, dog ikke mejeriprodukter, kulsyreholdige drikke, frugtjuice eller mad eller drikkevarer, der indeholder koffein eller teofyllin (et stof, der blandt andet findes i sort og grøn te).

Hvordan virker Diacomit?

Det vides ikke helt, præcist hvordan stiripentol, som er det aktive stof i Diacomit, virker som lægemiddel mod epilepsi. Det har i forsøgsmodeller vist sig at øge niveauet af en »neurotransmitter« kaldet gammaaminosmørsyre (GABA) i hjernen. GABA er hovedstoffet i de nerveceller, der er ansvarlige for at reducere den elektriske aktivitet i hjernen. Det forstærker endvidere virkningen af andre antiepileptiske lægemidler og reducerer den hastighed, hvormed disse nedbrydes af leveren.

Hvordan blev Diacomit undersøgt?

Diacomit blev undersøgt i to hovedundersøgelser, som omfattede 65 børn i alderen tre til 18 år. I undersøgelserne sammenlignedes effektiviteten af Diacomit som kapsler eller breve med placebo (en virkningsløs behandling), når disse blev givet som tillægsbehandling til den behandling, barnet i forvejen fik med clobazam og valproat. Det primære effektmål var antallet af patienter, som »responderede« på behandlingen. En patient blev klassificeret som »responderende«, hvis antallet af anfald i løbet af den anden måned af behandlingen var mindst 50 % lavere end antallet i måneden inden behandlingens start.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Diacomit?

Der var flere patienter, der responderede på behandling med Diacomit end med placebo. I den første undersøgelse responderede 71 % af de patienter, der fik Diacomit, på behandlingen (15 ud af 21) sammenlignet med 5 % i placebogruppen (1 ud af 20). Der blev iagttaget lignende resultater i den anden undersøgelse, hvor 67 % responderede på Diacomit (8 ud af 12) og 9 % på placebo (1 ud af 9).

Hvilken risiko er der forbundet med Diacomit?

De hyppigste bivirkninger ved Diacomit (som optræder hos flere end 1 ud af 10 patienter) er nedsat appetit, vægttab, søvnløshed, døsigthed, ataksi (manglende evne til at koordinere muskelbevægelser), hypotoni (nedsat muskelstyrke) og dystoni (muskellidelser). Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Diacomit fremgår af indlægssedlen.

Diacomit må ikke anvendes til patienter, som har haft psykoser (en alvorlig psykisk tilstand med forvrænget realitetssans) med tilfælde af delirium (en psykisk tilstand med konfusion, ophidselse, rastløshed og hallucinationer). Diacomit skal anvendes med forsigtighed, når det gives i kombination med andre lægemidler. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Diacomit godkendt?

CHMP konkluderede, at der var påvist effekt af Diacomit til SMEI, selv om undersøgelserne var begrænsede og ikke varede så længe, som udvalget havde forventet. Udvalget besluttede, at fordelene ved Diacomit opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af en markedsføringstilladelse for Diacomit.

Diacomit blev oprindeligt godkendt under »særlige omstændigheder«, eftersom der afventedes yderligere dokumentation om lægemidlet, navnlig vedrørende dets kort- og langsigtede virkning og sikkerhed. Da virksomheden har indsendt de fornødne supplerende oplysninger, er godkendelsen ændret fra at være under særlige omstændigheder til at være en fuldgyldig godkendelse.

Andre oplysninger om Diacomit

Europa-Kommissionen udstedte en betinget markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Diacomit den 4. januar 2007. Den blev ændret til en fuldstændig markedsføringstilladelse den 8. januar 2014.

Den fuldstændige EPAR for Diacomit findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Diacomit, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Diacomit findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 06-2014.