



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Diacomit

stiripentoli

Tämä teksti on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Diacomit-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkettä ja päätynyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä suosituksiin Diacomitin käytön ehdoista.

Mitä Diacomit on?

Diacomit on epilepsialääke, jonka vaikuttava aine on stiripentoli. Sitä saa kapseleina tai annospusseina (250 ja 500 mg). Annospusseissa on jauhetta, josta tehdään oralisuspensio (neste, jossa on kiinteitä hiukkasia).

Mihin Diacomitia käytetään?

Diacomitia käytetään erittäin harvinaista epilepsiatyyppiä, imeväisiän vaikeaa myoklonista epilepsiaa (SMEI) eli Dravetin oireyhtymää sairastavien lasten hoidossa. Tämän tyyppinen epilepsia ilmenee ensimmäistä kertaa pienillä lapsilla ensimmäisen elinvuoden aikana. Diacomitia käytetään klobatsaamin ja valproaatin (muuta epilepsialääkkeitä) lisänä yleistyneiden toonis-kloonisten kohtausten (vaikeiden kohtausten, mukaan lukien tajunnanmenetyksen) hoidossa, kun kohtaukset eivät pysy riittävän hyvin hallinnassa klobatsaamilla ja valproaatilla.

Koska SMEI:tä sairastavia potilaita on vähän, sairaus on harvinainen. Siksi Diacomit luokiteltiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettäväksi lääkkeeksi) 5. joulukuuta 2001.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.

Miten Diacomitia käytetään?

Diacomit-hoito on annettava lasten epilepsian diagnosointiin ja hoitoon erikoistuneen lääkärin (pediatrin tai lastenneurologin) valvonnassa. Suositeltu annos on 50 mg kehon painokiloa kohden kahteen tai kolmeen annokseen vuorokaudessa jaettuna. Hoito aloitetaan annoksella 20 mg kehon



painokiloa kohden. Annostusta lisätään vähitellen potilaan iästä riippuen muutaman viikon ajan suositusannokseen asti. Diacomitin käytön aloittamisen jälkeen klobatsaamin annosta saattaa olla tarpeen pienentää. Valproaatin annostusta ei tavallisesti tarvitse muuttaa.

Diacomitia on tutkittu pääasiassa yli kolmevuotiailla lapsilla. Päätökset Diacomitin käytöstä nuoremmilla lapsilla on tehtävä potilaskohtaisesti: sitä saa antaa nuoremmille lapsille vain, jos SMEI-diagnoosi on varmistettu.

Diacomit on annettava ruoan kanssa. Sitä ei saa antaa meijerituotteiden, hiilihapotettujen juomien, hedelmämehun tai kofeiinia tai teofylliiniä (esimerkiksi mustassa ja vihreässä teessä oleva aine) sisältävien ruokien tai juomien kanssa.

Miten Diacomit vaikuttaa?

Tapaa, jolla Diacomitin vaikuttava aine stiripentoli vaikuttaa epilepsialääkkeenä, ei tunneta kokonaan. Koemalleilla on voitu osoittaa, että lääke lisää gamma-aminobutyrihappo (GABA) –nimisen välittäjäaineen määrää aivoissa. Hermosoluissa GABA on se aine, joka pääasiallisesti vähentää aivojen sähkötoimintaa. Sen tiedetään myös lisäävän muiden epilepsialääkkeiden tehoa ja hidastavan niiden hajoamista maksassa.

Miten Diacomitia on tutkittu?

Diacomit-valmistetta tutkittiin kahdessa päätutkimuksessa, jossa oli mukana 65 iältään 3 – 18 - vuotiasta lasta. Tutkimuksissa verrattiin Diacomitia kapseleina tai annospusseina lumelääkkeeseen, kun Diacomitia annettiin lapsille klobatsaami- ja valproaattihoidon lisänä. Tehon pääasiallinen mitta oli niiden potilaiden määrä, joilla hoito tuotti vasteen. Jos kohtausten määrä toisen hoitokuukauden aikana oli vähintään 50 prosenttia pienempi kuin kuukautta ennen hoidon aloittamista, potilaan katsottiin vastanneen hoitoon.

Mitä hyötyä Diacomitista on havaittu tutkimuksissa?

Hoitovaste oli suurempi Diacomitia saaneilla potilailla kuin lumelääkettä saaneilla. Ensimmäisessä tutkimuksessa 71 prosentilla (15 potilasta 21:stä) Diacomitia saaneista potilaista ilmeni hoitovaste verrattuna 5 prosenttiin (1 potilas 20:stä) lumelääkeryhmässä. Vastaavia tuloksia havaittiin myös toisessa tutkimuksessa, jossa 67 prosentilla (8 potilasta 12:sta) ilmeni vastetta Diacomitiin ja 9 prosentilla (yksi potilas 9:stä) ilmeni vastetta lumelääkkeeseen.

Mitä riskejä Diacomitiin liittyy?

Diacomitin yleisimpiä sivuvaikutuksia (joita esiintyy useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat ruokahaluttomuus, painon putoaminen, univaikeudet, uneliaisuus, ataksia (lihasliikkeiden hallintakyvyttömyys), hypotonia (vähentynyt lihasjänteys) ja dystonia (lihasjänteyshäiriö). Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Diacomitin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Diacomitia ei saa käyttää potilailla, joilla on ollut psykooseja (vakava mielenterveyshäiriö, jossa todellisuudentaju on häiriintynyt) niihin liittyvine sekavuustiloineen (sekavuus, kiihtyneisyys, rauhattomuus ja hallusinaatiot). Diacomitin käytössä samanaikaisesti muiden lääkkeiden kanssa tulee noudattaa varovaisuutta. Luettelo rajoituksista kokonaisuudessaan on pakkausselosteessa.

Miksi Diacomit on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Diacomitin teho on todistettu SMEI:n hoidossa, joskin tutkimukset olivat rajoittuneita, eikä niiden kesto vastannut komitean odotuksia. Komitea katsoi, että Diacomitin edut ovat suuremmat kuin sen riskit, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Diacomitille annettiin alunperin ehdollinen lupa, koska lääkkeestä oli vasta tulossa lisänäyttöä, erityisesti sen lyhytaikaisesta ja pitkäaikaisesta tehosta ja turvallisuudesta. Kun yhtiö oli toimittanut tarvittavat lisätiedot, ehdollinen myyntilupa muutettiin normaaliksi.

Muita tietoja Diacomitista

Euroopan komissio myönsi 4. tammikuuta 2007 koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan ehdollisen myyntiluvan Diacomitia varten. Tämä muutettiin täysimittaiseksi myyntiluvaksi 8. tammikuuta 2014.

Diacomitia koskeva EPAR-arviointilausunto on viraston verkkosivustolla [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lisätietoja Diacomit-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), tai lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Diacomitista antamasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2014.