



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Diacomit

stiripentols

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Diacomit*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Diacomit* lietošanu.

Kas ir *Diacomit*?

Diacomit ir pretepilepsijas zāles, kas satur aktīvo vielu stiripentolu. Tās ir pieejamas kapsulās un maisiņos (250 un 500 mg). Maisiņi satur pulveri, no kura pagatavo suspensiju iekšķīgai lietošanai (šķīdrumu ar tajā izkliedētām cietvielām daļiņām).

Kāpēc lieto *Diacomit*?

Diacomit lieto bērniem ar ļoti retu epilepsijas veidu, ko sauc par smagu mioklonisku epilepsiju agrā bērnībā (*SMEI*), kas pazīstama arī kā Dravet sindroms. Šis epilepsijas veids pirmoreiz parādās bērniem pirmajā dzīves gadā. *Diacomit* lieto papildus klobazāmam un valproātam (citām pretepilepsijas zālēm), lai ārstētu ģeneralizētus toniski-kloniskus krampjus (lielās lēkmes, ieskaitot samaņas zudumu), ja tās nevar adekvāti kontrolēt ar klobazāmu un valproātu.

Sakarā ar to, ka *SMEI* pacientu skaits ir mazs, šo slimību uzskata par retu, un 2001. gada 5. decembrī *Diacomit* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Diacomit*?

Ārstēšanu ar *Diacomit* drīkst veikt tikai tāda ārsta uzraudzībā, kas specializējas zīdaiņu un bērnu epilepsijas diagnostikā un ārstēšanā (pediatrs vai pediatrs neirologs). Ieteicamā deva ir 50 mg uz 1 kg ķermeņa svara, sadalīta divās līdz trīs devās dienas garumā. Ārstēšanu uzsāk ar devu 20 mg uz 1 kg ķermeņa svara, ko pakāpeniski palielina līdz ieteicamajai devai vairāku nedēļu laikā atkarībā no



pacienta vecuma. Pēc *Diacomit* lietošanas uzsākšanas var būt nepieciešams samazināt klobazāma devu. Valproāta devu parasti nevajag pielāgot.

Diacomit pamatpētījumus veica ar bērniem, kas vecāki par trīs gadiem. Lēmumu par *Diacomit* lietošanu jaunākiem bērniem ir jāpieņem katram pacientam individuāli: tās var dot jaunākiem bērniem tikai tad, ja *SMEI* diagnoze ir apstiprināta.

Diacomit jādod vienlaikus ar ēdienu, bet ne ar piena produktiem, gāzētiem dzērieniem, augļu sulu vai ēdieniem vai dzērieniem, kas satur kofeīnu vai teofilīnu (vielu, kas bez citiem produktiem, ir atrodama arī melnā un zaļā tējā).

Kā *Diacomit* darbojas?

Mehānisms, kā stiripentols, *Diacomit* aktīvā viela, darbojas kā pretepilepsijas zāles, nav pilnībā zināms. Eksperimentālos modeļos noskaidroja, ka tas palielina neurotransmitera, ko dēvē par gamma aminosviestskābi (GASS), līmeni smadzenēs. GASS ir pamatviela nervu šūnās, kas atbild par elektriskās aktivitātes samazināšanu smadzenēs. Turklāt tas var darboties, palielinot citu pretepilepsijas zāļu iedarbību un palēninot to noārdīšanas ātrumu aknās.

Kā noritēja *Diacomit* pētījumi?

Diacomit iedarbību izskatīja divos pamatpētījumos, iesaistot 65 bērnus no trīs līdz 18 gadu vecumam. Pētījumos salīdzināja *Diacomit* (kapsulu vai maisiņu) efektivitāti ar placebo (fiktīvu ārstēšanu), pievienojot tās jau esošajai bērnu ārstēšanai ar klobazāmu un valproātu. Galvenais iedarbīguma rādītājs bija to pacientu skaits, kuri reaģēja uz ārstēšanu. Pacients tika klasificēts kā reaģējošs, ja lēkmju skaits otrajā ārstēšanas mēnesī ar *Diacomit* bija vismaz par 50 % mazāks nekā mēnesī, pirms tika uzsākta ārstēšana ar *Diacomit*.

Kādas bija *Diacomit* priekšrocības šajos pētījumos?

Uz ārstēšanu ar *Diacomit* reaģēja lielāks pacientu skaits nekā uz placebo. Pirmajā pētījumā 71% *Diacomit* lietojošo pacientu reaģēja uz ārstēšanu (15 no 21), salīdzinot ar 5% placebo grupā (1 no 20). Līdzīgus rezultātus novēroja otrajā pētījumā, kur 67% pacientu reaģēja uz *Diacomit* (8 no 12) un 9% pacientu reaģēja uz placebo (1 no 9).

Kāds risks pastāv, lietojot *Diacomit*?

Visbiežāk novērotās *Diacomit* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) bija ēstgribas zudums, svara zudums, bezmiegs, miegainība, ataksija (nespēja koordinēt muskuļu kustību), hipotonija (mazs muskuļu spēks) un distonija (muskuļu darbības traucējumi). Pilns visu *Diacomit* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Diacomit nedrīkst lietot arī pacientiem, kam slimības vēsturē ir psihozes (nopietns psiholoģiskais stāvoklis ar traucētu realitātes izjūtu) ar delīrija lēkmēm (psiholoģiskais stāvoklis ar apjukumu, saviļņojumu, nemieru un halucinācijām). Jābūt piesardzīgam, lietojot *Diacomit* vienlaikus ar citām zālēm. Pilns ierobežojumu saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Diacomit* tika apstiprinātas?

CHMP secināja, ka ir parādīts *Diacomit* iedarbīgums *SMEI* ārstēšanā, taču pētījumi bija ierobežoti un nebija tik ilgi, kā Komiteja sagaidīja. Komiteja nolēma, ka ieguvumi pārsniedz šo zāļu radīto risku un ieteica izsniegt *Diacomit* reģistrācijas apliecību.

Sākotnēji *Diacomit* tika piemērota „reģistrācija ar nosacījumiem”, jo bija sagaidāmi papildu dati par šīm zālēm, jo īpaši attiecībā uz šo zāļu iedarbīgumu un nekaitīgumu īstermiņā un ilgtermiņā. Tā kā uzņēmums iesniedza vajadzīgo papildu informāciju, reģistrācija ar nosacījumiem tika aizstāta ar pilnīgu apstiprinājumu.

Cita informācija par *Diacomit*

Eiropas Komisija 2007. gada 4. janvārī izsniedza *Diacomit* reģistrācijas apliecību, kas ir derīga visā Eiropas Savienībā. Šo zāļu reģistrāciju ar nosacījumiem 2014. gada 8. janvārī aizstāja ar parasto reģistrāciju.

Pilns *Diacomit* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Diacomit* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Diacomit* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 06.2014.