

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Diacomit

Stiripentol

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Diacomit. Hierin wird erläutert wird, wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Diacomit zu gelangen.

Was ist Diacomit?

Diacomit ist ein Antiepileptikum, das den Wirkstoff Stiripentol enthält. Es ist als Kapseln und Beutel (250 mg und 500 mg) erhältlich. Die Beutel enthalten ein Pulver zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen (Flüssigkeit mit festen Partikeln).

Wofür wird Diacomit angewendet?

Diacomit wird bei Kindern mit einer sehr seltenen Form der Epilepsie, der sogenannten „schweren myoklonischen Epilepsie im Kindesalter“ (SMEI), die auch als Dravet-Syndrom bezeichnet wird, angewendet. Diese Form der Epilepsie tritt erstmals bei Kleinkindern im Verlauf des ersten Lebensjahrs auf. Diacomit wird als Zusatztherapie zu Clobazam und Valproat (andere Antiepileptika) zur Behandlung von generalisierten tonisch-klonischen Anfällen (schwere Anfälle mit Bewusstlosigkeit) angewendet, wenn diese mit Clobazam und Valproat nicht angemessen kontrolliert werden können.

Da es nur wenige Patienten mit SMEI gibt, gilt die Krankheit als selten, und Diacomit wurde am 5. Dezember 2001 als Arzneimittel für seltene Leiden ausgewiesen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Wie wird Diacomit angewendet?

Die Behandlung mit Diacomit darf nur unter der Aufsicht eines Arztes durchgeführt werden, der sich auf die Diagnose und Behandlung der Epilepsie bei Kindern (ein Pädiater oder pädiatrischer Neurologe)



spezialisiert hat. Die empfohlene Dosis beträgt 50 mg pro kg Körpergewicht auf zwei oder drei Dosen über den Tag verteilt. Die Behandlung beginnt mit einer Dosis von 20 mg pro kg Körpergewicht, die je nach Alter des Patienten über einige Wochen bis zur empfohlenen Dosis gesteigert wird. Nach Beginn der Behandlung mit Diacomit muss die Dosis von Clobazam unter Umständen verringert werden. Die Dosis von Valproat muss normalerweise nicht angepasst werden.

Die Hauptstudien von Diacomit wurden bei Kindern im Alter von über drei Jahren durchgeführt. Die Entscheidung über die Anwendung von Diacomit bei jüngeren Kindern sollte für jedes Kind individuell getroffen werden: Bei Kleinkindern darf das Arzneimittel nur angewendet werden, wenn die Diagnose der SMEI bestätigt wurde.

Diacomit sollte zusammen mit Nahrung eingenommen werden, nicht jedoch mit Milchprodukten, kohlensäurehaltigen Getränken, Fruchtsaft oder Nahrungsmitteln und Getränken, die Koffein oder Theophyllin (ein Stoff, der unter anderem in schwarzem und grünem Tee vorkommt) enthalten.

Wie wirkt Diacomit?

Die genaue Art und Weise, in der Stiripentol, der Wirkstoff in Diacomit, als antiepileptisches Arzneimittel wirkt, ist nicht vollständig bekannt. Es hat sich in Versuchsmodellen gezeigt, dass es den Spiegel eines „Neurotransmitters“, der sogenannten Gamma-Amino-Buttersäure (GABA), im Gehirn erhöht. GABA ist die Substanz in Nervenzellen, die hauptsächlich die Reduzierung der elektrischen Aktivität des Gehirns bewirkt. Es wird ferner davon ausgegangen, dass diese Substanz die Wirkung anderer Antiepileptika verstärkt und die Geschwindigkeit deren Abbaus in der Leber verlangsamt.

Wie wurde Diacomit untersucht?

Diacomit wurde in zwei Hauptstudien bei 65 Kindern zwischen drei und 18 Jahren untersucht. In den Studien wurden Diacomit Kapseln oder Beutel mit Placebo (einer Scheinbehandlung) bei Gabe zusätzlich zur bestehenden Behandlung der Kinder mit Clobazam und Valproat verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Anzahl der Patienten, die auf die Behandlung ansprachen. Ein Patient galt als „Responder“ (auf die Therapie ansprechender Patient), wenn die Anzahl der Anfälle im zweiten Monat der Behandlung mit Diacomit um mindestens 50 % niedriger war als im Monat vor Beginn der Behandlung.

Welchen Nutzen hat Diacomit in diesen Studien gezeigt?

Auf die Behandlung mit Diacomit sprachen mehr Patienten an als auf Placebo. In der ersten Studie sprachen 71 % (15 von 21) der Patienten, die Diacomit einnahmen, auf die Behandlung an gegenüber 5 % (1 von 20) in der Placebogruppe. Ähnliche Ergebnisse wurden in der zweiten Studie beobachtet, wobei 67 % (8 von 12) auf Diacomit und 9 % (1 von 9) auf Placebo ansprachen.

Welches Risiko ist mit Diacomit verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind Appetitverlust, Gewichtsverlust, Insomnie (Schlaflosigkeit), Schläfrigkeit, Ataxie (Unfähigkeit zu koordinierten Muskelbewegungen), Hypotonie (verminderte Muskelkraft) und Dystonie (Muskelstörungen). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Diacomit berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Diacomit darf nicht bei Patienten angewendet werden, die an Psychosen (einer schweren psychischen Störung mit gestörter Realitätswahrnehmung) mit Deliriumsanfällen (geistiger Zustand mit Verwirrung, Erregung, Ruhelosigkeit und Halluzinationen) litten. Vorsicht ist geboten, wenn Diacomit gleichzeitig mit

anderen Arzneimitteln eingenommen wird. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Diacomit zugelassen?

Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass Diacomit sich bei SMEI als wirksam erwiesen hat, auch wenn die Studien begrenzt waren und nicht so lange dauerten wie vom Ausschuss erwartet. Der Ausschuss gelangte zu der Auffassung, dass der Nutzen von Diacomit gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Diacomit wurde ursprünglich „unter Auflagen“ zugelassen, da weitere Nachweise für das Arzneimittel erwartet wurden, insbesondere in Bezug auf die Kurzeit- und Langzeitwirkung und Sicherheit. Nachdem das Unternehmen die erforderlichen zusätzlichen Informationen vorgelegt hatte, wurde die Einschränkung „unter Auflagen“ aufgehoben.

Weitere Informationen über Diacomit

Am 4. Januar 2007 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung „unter Auflagen“ für das Inverkehrbringen von Diacomit in der gesamten Europäischen Union. Am 8. Januar 2014 wurde diese in eine uneingeschränkte Genehmigung umgewandelt.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Diacomit finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Diacomit benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Diacomit finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 06-2014 aktualisiert.