



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Περίληψη EPAR για το κοινό

---

# Diacomit

## στιριπεντόλη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Diacomit. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Diacomit.

### Τι είναι το Diacomit;

Το Diacomit είναι αντιεπιληπτικό φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία στιριπεντόλη. Διατίθεται σε καψάκια και φακελίσκους (250 και 500 mg). Οι φακελίσκοι περιέχουν σκόνη που χρησιμοποιείται για την παρασκευή πόσιμου εναιωρήματος (υγρού που περιέχει στερεά σωματίδια).

### Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Diacomit;

Το Diacomit χορηγείται σε παιδιά που πάσχουν από μια πολύ σπάνια μορφή επιληψίας που ονομάζεται «σοβαρή μυοκλονική επιληψία της βρεφικής ηλικίας» (SMEI), γνωστή επίσης ως σύνδρομο Dravet. Αυτή η μορφή επιληψίας εκδηλώνεται για πρώτη φορά σε μικρά παιδιά κατά τη διάρκεια του πρώτου έτους της ζωής τους. Το Diacomit χορηγείται συμπληρωματικά στην αγωγή με κλοβαζάμη και βαλπροϊκό οξύ (άλλα αντιεπιληπτικά φάρμακα) για τη θεραπεία γενικευμένων τονικοκλονικών σπασμών (σοβαρές κρίσεις στις οποίες περιλαμβάνεται η απώλεια συνείδησης) όταν οι σπασμοί δεν μπορούν να ελεγχθούν επαρκώς με κλοβαζάμη και βαλπροϊκό οξύ .

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με SMEI και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Diacomit χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 5 Δεκεμβρίου 2001.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.



## **Πώς χρησιμοποιείται το Diacomit;**

Η θεραπεία με Diacomit πρέπει να πραγματοποιείται μόνο υπό την επίβλεψη γιατρού εξειδικευμένου στη διάγνωση και την αντιμετώπιση της επιληψίας σε παιδιά (παιδιάτρου ή παιδονευρολόγου). Η συνιστώμενη δόση είναι 50 mg ανά κιλό σωματικού βάρους, χορηγούμενη σε δύο ή τρεις επιμέρους δόσεις ημερησίως. Η θεραπεία ξεκινά με τη χορήγηση δόσης 20 mg ανά κιλό σωματικού βάρους, η οποία αυξάνεται σταδιακά έως ότου επιτευχθεί η συνιστώμενη δόση σε διάστημα μερικών εβδομάδων ανάλογα με την ηλικία του ασθενούς. Μετά την έναρξη της θεραπείας με Diacomit, ενδέχεται να χρειαστεί μείωση της δόσης κλοβαζάμης. Η δόση βαλπροϊκού οξέος δεν χρειάζεται συνήθως προσαρμογή.

Οι βασικές μελέτες του Diacomit διεξήχθησαν σε παιδιά ηλικίας άνω των τριών ετών. Η απόφαση για τη χορήγηση Diacomit σε μικρότερα παιδιά πρέπει να λαμβάνεται με βάση τον εκάστοτε ασθενή: μπορεί να χορηγείται σε μικρότερα παιδιά μόνο εφόσον η διάγνωση της SMEI είναι επιβεβαιωμένη.

Το Diacomit πρέπει να λαμβάνεται μαζί με τροφή, αλλά όχι μαζί με γαλακτοκομικά προϊόντα, ανθρακούχα ποτά, χυμούς φρούτων ή τροφές και ποτά που περιέχουν καφεΐνη ή θεοφυλλίνη (ουσία που περιέχεται, μεταξύ άλλων προϊόντων, στο μαύρο και το πράσινο τσάι).

## **Πώς δρα το Diacomit;**

Ο επακριβής τρόπος δράσης της σπιριπεντόλης, της δραστικής ουσίας του Diacomit, ως αντιεπιληπτικού φαρμάκου δεν είναι πλήρως γνωστός. Αποδείχθηκε σε πειραματικά μοντέλα ότι αυξάνει τις συγκεντρώσεις ενός «νευροδιαβιβαστή» που ονομάζεται γ-αμινοβουτυρικό οξύ (GABA) στον εγκέφαλο. Το GABA είναι μια ουσία των νευρικών κυττάρων που ευθύνεται για τη μείωση της ηλεκτρικής δραστηριότητας στον εγκέφαλο. Είναι επίσης γνωστό ότι αυξάνει τη δραστηριότητα άλλων αντιεπιληπτικών φαρμάκων και επιβραδύνει τον ρυθμό μεταβολισμού τους από το ήπαρ.

## **Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Diacomit;**

Πραγματοποιήθηκαν δύο κύριες μελέτες για το Diacomit, στις οποίες μετείχαν 65 παιδιά ηλικίας τριών έως 18 ετών. Στις μελέτες συγκρίθηκαν τα καψάκια και οι φακελίσκοι Diacomit με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία), ως θεραπεία συμπληρωματική της υφιστάμενης αγωγής των παιδιών με κλοβαζάμη και βαλπροϊκό οξύ. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο αριθμός των ασθενών που ανταποκρίθηκαν στη θεραπεία. Ως ασθενείς που ανταποκρίθηκαν στη θεραπεία χαρακτηρίστηκαν όσοι εμφάνισαν 50 % λιγότερους σπασμούς κατά τον δεύτερο μήνα της θεραπείας με Diacomit απ' ό,τι κατά τον μήνα που προηγήθηκε της έναρξης της θεραπείας.

## **Ποιο είναι το όφελος του Diacomit σύμφωνα με τις μελέτες;**

Στη θεραπεία με Diacomit ανταποκρίθηκαν περισσότεροι ασθενείς απ' ό,τι στη θεραπεία με εικονικό φάρμακο. Στην πρώτη μελέτη, στη θεραπεία ανταποκρίθηκε το 71 % των ασθενών (15 στους 21) που έλαβαν Diacomit, έναντι 5 % των ασθενών (1 στους 20) της ομάδας στην οποία χορηγήθηκε εικονικό φάρμακο. Παρόμοια ήταν τα αποτελέσματα της δεύτερης μελέτης, στην οποία παρατηρήθηκε 67% απόκριση στο Diacomit (8 στους 12 ασθενείς) και 9% απόκριση στο εικονικό φάρμακο (1 στους 9).

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Diacomit;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι απώλεια της όρεξης, απώλεια βάρους, αϋπνία (δυσκολία στον ύπνο), νωθρότητα, αταξία (αδυναμία συντονισμού μυϊκών κινήσεων), υποτονία (μειωμένη μυϊκή δύναμη) και δυστονία (μυϊκές διαταραχές). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Diacomit περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Diacomit δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που έχουν παρουσιάσει στο παρελθόν ψυχώσεις (σοβαρή νοητική κατάσταση που έγκειται σε διαστρεβλωμένη αντίληψη της πραγματικότητας) με επεισόδια παραληρήματος (νοητική κατάσταση που περιλαμβάνει σύγχυση, διέγερση, ανησυχία και παραισθήσεις). Συνίσταται προσοχή κατά την ταυτόχρονη χορήγηση του Diacomit μαζί με άλλα φάρμακα. Ο πλήρης κατάλογος των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

### **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Diacomit;**

Η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι η αποτελεσματικότητα του Diacomit στη SMEI έχει καταδειχθεί, παρόλο που οι μελέτες ήταν περιορισμένες και διήρκεσαν λιγότερο απ' όσο προσδοκούσε η επιτροπή. Η επιτροπή έκρινε ότι τα οφέλη του Diacomit υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Στο Diacomite χορηγήθηκε αρχικά «έγκριση υπό όρους» επειδή αναμένονταν περισσότερες αποδείξεις σχετικά με το φάρμακο, ειδικά σχετικά με τη βραχυπρόθεσμη και μακροπρόθεσμη αποτελεσματικότητα και ασφάλειά του. Μετά την υποβολή των απαραίτητων πρόσθετων πληροφοριών από την παρασκευάστρια εταιρεία, η ένδειξη της χορήγησης «έγκριση υπό όρους» μετατράπηκε σε «πλήρη έγκριση».

### **Λοιπές πληροφορίες για το Diacomit;**

Στις 4 Ιανουαρίου 2007, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Diacomit. Η πλήρης άδειας κυκλοφορίας χορηγήθηκε στις 8 Ιανουαρίου 2014.

Η πλήρης EPAR του Diacomit διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Diacomit, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της Επιτροπής Ορφανών Φαρμάκων για το Diacomit διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 06-2014.