



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Résumé EPAR à l'intention du public

Diacomit

stiripentol

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Diacomit. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a procédé l'a conduit à rendre un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation de Diacomit.

Qu'est-ce que Diacomit?

Diacomit est un médicament anti-épileptique qui contient le principe actif stiripentol. Il est disponible sous la forme de gélules et de sachets (250 et 500 mg). Les sachets contiennent une poudre utilisée pour constituer une suspension orale (un liquide contenant des particules solides).

Dans quel cas Diacomit est-il utilisé?

Diacomit est utilisé chez l'enfant atteint d'une forme très rare d'épilepsie appelée «épilepsie myoclonique sévère du nourrisson» (EMSN), également connue sous le nom de syndrome de Dravet. Ce type d'épilepsie apparaît pour la première fois chez les jeunes enfants pendant la première année de vie. Diacomit est utilisé en association avec le clobazam et le valproate de sodium (d'autres médicaments anti-épileptiques) pour traiter les convulsions tonico-cloniques généralisées (convulsions graves, avec perte de conscience) lorsqu'elles ne sont pas contrôlées de manière adéquate par le clobazam et le valproate de sodium.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par l'EMSN, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Diacomit a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 5 décembre 2001.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.



Comment Diacomit est-il utilisé?

Le traitement par Diacomit doit être administré uniquement sous la surveillance d'un médecin spécialisé dans le diagnostic et le traitement de l'épilepsie de l'enfant (pédiatre ou neuropédiatre). Le dosage recommandé est de 50 mg par kilogramme de poids corporel, répartis en deux ou trois doses au cours de la journée. Le traitement débute par une dose de 20 mg par kilogramme de poids corporel, qui est portée progressivement jusqu'au niveau recommandé sur un nombre de semaines dépendant de l'âge du patient. Après avoir débuté le traitement par Diacomit, il peut être nécessaire de réduire la dose de clobazam. En principe, il n'est pas nécessaire d'ajuster la dose de valproate de sodium.

Les principales études sur Diacomit ont été menées auprès d'enfants de plus de trois ans. Les décisions relatives à l'administration de Diacomit chez des enfants plus jeunes doivent être prises au cas par cas: le médicament ne peut être administré chez des enfants plus jeunes que lorsque le diagnostic d'EMSN a été confirmé.

Diacomit doit être administré au cours des repas, mais pas avec des produits laitiers, des boissons gazeuses, des jus de fruits, ni avec des aliments ou boissons contenant de la caféine ou de la théophylline (substance présente notamment dans le thé noir et le thé vert).

Comment Diacomit agit-il?

Le processus exact par lequel le stiripentol, principe actif de Diacomit, agit comme anti-épileptique n'est pas entièrement connu. Il a été démontré sur des modèles expérimentaux qu'il augmentait les niveaux d'un «neurotransmetteur» appelé acide gamma-aminobutyrique (GABA) dans le cerveau. Le GABA est la principale substance des cellules nerveuses qui soit responsable de la réduction de l'activité électrique du cerveau. Il est également connu pour augmenter les effets d'autres médicaments anti-épileptiques et ralentir le rythme auquel ils sont dégradés par le foie.

Quelles études ont été menées sur Diacomit?

Diacomit a fait l'objet de deux études principales auprès de 65 enfants âgés de trois à 18 ans. Les études ont comparé Diacomit (gélules ou sachets) à un placebo (traitement fictif), associés au traitement par clobazam et valproate de sodium en place chez ces enfants. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le nombre de patients ayant «répondu» au traitement. Un patient était classé comme «répondant» si le nombre de convulsions au cours du deuxième mois de traitement était au moins de 50 % inférieur au nombre enregistré au cours du mois précédant le début du traitement.

Quel est le bénéfice démontré par Diacomit au cours des études?

Davantage de patients ont répondu au traitement par Diacomit qu'au placebo. Au cours de la première étude, 71 % des patients sous Diacomit ont répondu au traitement (15 sur 21), contre 5 % dans le groupe sous placebo (1 sur 20). Des résultats similaires ont été constatés au cours de la deuxième étude, 67 % des sujets répondant à Diacomit (8 sur 12), contre 9 % répondant au placebo (1 sur 9).

Quel est le risque associé à l'utilisation de Diacomit?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Diacomit (chez plus d'un patient sur 10) sont la perte d'appétit, la perte de poids, l'insomnie (troubles du sommeil), la somnolence, l'ataxie (incapacité à coordonner les mouvements musculaires), l'hypotonie (faible force musculaire) et la dystonie (troubles musculaires). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Diacomit, voir la notice.

Diacomit ne doit pas être utilisé chez les patients présentant des antécédents de psychoses (état mental grave qui se traduit par une sensation déformée de la réalité) avec crises de délire (état mental de confusion, d'excitation, d'agitation et d'hallucinations). Il faut faire preuve de prudence lorsque Diacomit est utilisé en association avec d'autres médicaments. Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Diacomit a-t-il été approuvé?

Le CHMP a conclu que Diacomit avait prouvé son efficacité dans le traitement de l'EMSN, bien que cela ait été établi dans des études limitées qui n'ont pas duré aussi longtemps que le comité l'aurait souhaité. Il a estimé que les bénéfices de Diacomit sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

À l'origine, une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Diacomit, car d'autres données concernant ce médicament étaient attendues, notamment concernant son efficacité et sa sécurité à court et à long termes. La société ayant fourni les informations supplémentaires requises, l'autorisation de mise sur le marché «conditionnelle» a été requalifiée en autorisation de mise sur le marché «complète».

Autres informations relatives à Diacomit:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché conditionnelle valide dans toute l'Union européenne pour Diacomit, le 4 janvier 2007. Celle-ci a été requalifiée en autorisation de mise sur le marché complète le 8 janvier 2014.

L'EPAR complet relatif à Diacomit est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Diacomit, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Diacomit est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Dernière mise à jour du présent résumé: 06-2014.