



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Diacomit sztiripentol

Ez a dokumentum a Diacomit-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Diacomit alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Diacomit?

A Diacomit egy sztiripentol nevű hatóanyagot tartalmazó epilepszia elleni gyógyszer. Kapszula és tasak formájában kapható (250 és 500 mg). A tasak port tartalmaz, amelyet belsőleges szuszpenzió (szilárd részecskéket tartalmazó folyadék) készítéséhez alkalmaznak.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Diacomit?

A Diacomit-ot az epilepszia egy nagyon ritka típusában, az ún. „súlyos gyermekkori mioklonusos epilepsziában” (SMEI), más néven Dravet-szindrómában szenvedő gyermekeknél alkalmazzák. Ez az epilepszia-típus kisgyermeknél először az első életév folyamán jelenik meg. A Diacomit-ot kiegészítő kezelésként alkalmazzák klobazám és valproát (más, epilepszia elleni gyógyszerek) mellett, generalizált tónusos-klónusos rohamok (súlyos görcsök, ideértve az eszméletvesztést) kezelésére, amennyiben a rohamok klobazámmal és valproáttal nem kontrollálhatóak megfelelően.

Mivel az SMEI-ben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Diacomit-ot 2001. december 5-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Diacomit-ot?

Diacomit-kezelés kizárólag a gyermekkori epilepszia diagnosztizálására és kezelésére szakosodott orvos (gyermekgyógyász vagy gyermekneurológus) felügyelete alatt végezhető. Az ajánlott adag

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



testsúly-kilogrammonként 50 mg, amelyet a nap során két vagy három dózisban kell beadni. A kezelés testsúly-kilogrammonként 20 mg-os dózissal kezdődik, amelyet a beteg életkorától függően, több hét alatt emelnek fokozatosan a javasolt dózis eléréséig. A Diacomit adásának elkezdése után szükség lehet a klobazám adagjának csökkentésére. A valproát dózisát általában nem kell módosítani.

A Diacomit-tal kapcsolatos fő vizsgálatokban három év feletti gyermekek vettek részt. A Diacomit alkalmazását fiatalabb gyermekeknél egyéni alapon kell mérlegelni: fiatalabb gyermeknek csak akkor adható, ha az SMEI diagnózisa megerősítést nyert.

A Diacomit-ot étkezés közben kell beadni, nem szabad azonban tejtermékkel, szénsavas itallal, gyümölcslével, valamint koffein vagy teofillin (többek közt a zöld és fekete tea tartalmazza) tartalmú étellel, illetve itallal bevenni.

Hogyan fejti ki hatását a Diacomit?

A Diacomit hatóanyagának, a sztiripentolnak az epilepsziaellenes hatásmechanizmusa nem teljes mértékben ismert. Kísérleti modellek eredményei alapján megnöveli a gamma-amino-vajsav (GABA) nevű „neurotranszmitter” szintjét az agyban. A GABA az idegsejtekben lévő fő anyag, amely az agy elektromos tevékenységének csökkentéséért felel. Az is ismert, hogy a többi epilepsziaellenes gyógyszer aktivitását fokozza azáltal, hogy lelassítja a lebomlásuk sebességét a májban.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Diacomit-ot?

A Diacomit-ot két fő vizsgálatában tanulmányozták, amelyekben 65, három és 18 év közötti gyermek vett részt. A vizsgálatokban a Diacomit kapszulát, illetve tasakot placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze, azokat kiegészítő kezelésként adva a gyermekek már folyamatban lévő klobazám és valproát kezeléséhez. A fő hatékonysági mutató a kezelésre reagáló betegek száma volt. A beteg a meghatározás szerint akkor reagált a kezelésre, ha a rohamok száma a kezelés második hónapjában legalább 50%-kal volt alacsonyabb, mint a kezelést megelőző hónapban.

Milyen előnyei voltak a Diacomit alkalmazásának a vizsgálatok során?

Több beteg reagált a Diacomit-kezelésre, mint a placebóra. Az első vizsgálatban a Diacomit-kezelést kapó betegek 71%-a reagált a kezelésre (21-ből 15), míg a placebót kapó csoportnak csak 5%-a (20-ból 1). Hasonló eredmények születtek a második vizsgálatban is: a Diacomit-tal kezelték 67%-a (12-ből 8) és a placebóval kezelték 9%-a (9-ből 1) reagált a kezelésre.

Milyen kockázatokkal jár a Diacomit alkalmazása?

A Diacomit leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkeznek) az étvágytalanság, súlycsökkenés, álmatlanság, álmoság, ataxia (az izommozgások koordinációjának zavara), hipotónia (izomgyengeség), valamint disztónia (izomproblémák). A Diacomit alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Diacomit nem alkalmazható olyan betegeknél, akik delírium-rohamokkal (zavartsággal, izgatottsággal, nyugtalansággal és hallucinációkkal járó mentális tudatállapot) fellépő pszichózison (torzult valóságérzékeléssel járó súlyos mentális tudatállapot) estek át. Körültekintően kell eljárni a Diacomit más gyógyszerekkel való egyidejű alkalmazása esetén. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Diacomit forgalomba hozatalát?

A CHMP azt a következtetést vonta le, hogy a Diacomit bizonyítottan hatásos az SMEI kezelésében, bár a vizsgálatok korlátozottak voltak, és nem tartottak a bizottság által elvárt ideig. A CHMP megállapította, hogy a Diacomit alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Diacomit-ot eredetileg „feltételes jóváhagyással” engedélyezték, mivel a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok voltak várhatók, különös tekintettel annak rövid távú és hosszú távú hatékonyságára és biztonságosságára. Mivel a vállalat benyújtotta a szükséges kiegészítő információkat, a forgalomba hozatali engedélyt „feltételesről” „teljes érvényűre” módosították.

A Diacomit-tal kapcsolatos egyéb információ

2007. január 4-én az Európai Bizottság a Diacomit-ra vonatkozóan az Európai Unió egész területére érvényes feltételes forgalomba hozatali engedélyt adott ki. A feltételes engedély 2014. január 8-án vált teljes érvényű forgalomba hozatali engedéllyé.

A Diacomit-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Amennyiben a Diacomit-tal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Diacomit-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare%20disease%20designations).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 06-2014.