



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Diacomit

stiripentolo

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Diacomit. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Diacomit.

Che cos'è Diacomit?

Diacomit è un medicinale anti-epilettico che contiene il principio attivo stiripentolo. È disponibile in capsule e bustine (250 e 500 mg). Le bustine contengono una polvere che si usa per preparare una sospensione orale (un liquido contenente particelle solide).

Per che cosa si usa Diacomit?

Diacomit è indicato per bambini affetti da una forma molto rara di epilessia chiamata "epilessia mioclonica severa dell'infanzia" (EMSI), nota anche con il nome di sindrome di Dravet. Questo tipo di epilessia appare innanzitutto nei bambini piccoli durante il loro primo anno di vita. Diacomit è indicato come terapia aggiuntiva a clobazam e valproato (altri medicinali antiepilettici) nel trattamento delle crisi tonico-cloniche generalizzate (crisi gravi, in cui si ha perdita di coscienza) quando queste non possono essere controllate in maniera adeguata con clobazam e valproato.

Poiché il numero di pazienti affetti da EMSI è basso, la malattia è considerata "rara" e Diacomit è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 5 dicembre 2001.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Diacomit?

La terapia con Diacomit deve essere somministrata solo sotto il controllo di un medico esperto nella diagnosi e nella gestione dell'epilessia nel bambino (un pediatra o un neurologo pediatrico). La dose



raccomandata è di 50 mg per chilogrammo di peso corporeo, suddivisa in due o tre dosi nel corso della giornata. Il trattamento inizia con una dose di 20 mg per kg di peso corporeo, che è gradualmente incrementata fino alla dose raccomandata nell'arco di un certo numero di settimane, a seconda dell'età del paziente. Dopo aver iniziato la terapia con Diacomit può essere necessario diminuire la dose di clobazam. La dose di valproato normalmente non dev'essere modificata.

Gli studi principali condotti su Diacomit sono stati effettuati su bambini di più di tre anni. Le decisioni riguardanti l'uso di Diacomit nei bambini di più giovane età devono essere prese su base individuale a seconda dei casi: Il farmaco, cioè, può essere somministrato a bambini più piccoli solo se la diagnosi di EMSI è stata confermata.

Diacomit deve essere assunto insieme al cibo, ma non con prodotti caseari, bevande gassate, succhi di frutta o cibi o bevande contenenti caffeina o teofillina (sostanza che si trova, per esempio, nel tè nero e verde).

Come agisce Diacomit?

La modalità d'azione esatta in cui lo stiripentolo, il principio attivo di Diacomit, agisce come medicinale antiepilettico non è ancora del tutto nota. È stato mostrato in modelli sperimentali che incrementa i livelli di un "neurotrasmettitore" nel cervello denominato acido gamma amino-butirrico (GABA). GABA è la principale sostanza nelle cellule nervose responsabile per la riduzione dell'attività elettrica del cervello. È anche noto per amplificare gli effetti di altri medicinali antiepilettici riducendone la velocità di metabolizzazione da parte del fegato.

Quali studi sono stati effettuati su Diacomit?

Diacomit è stato studiato in due studi principali che hanno interessato 65 bambini di età compresa fra i 3 e i 18 anni di età. Negli studi si è confrontato Diacomit capsule o bustine con un placebo (trattamento fittizio) come trattamento aggiuntivo a terapie in corso con clobazam e valproato nei bambini. Il parametro principale dell'efficacia era costituito dal numero di pazienti che rispondevano al trattamento. Un paziente era definito "responder" (paziente in cui si osserva una risposta soddisfacente al trattamento) se il numero di crisi nel secondo mese di trattamento era diminuito almeno del 50% rispetto a quello del mese precedente l'inizio della terapia.

Quali benefici ha mostrato Diacomit nel corso degli studi?

I pazienti che hanno risposto alla terapia con Diacomit sono stati più dei pazienti che hanno risposto a placebo. Nel primo studio, il 71% dei pazienti che hanno assunto Diacomit ha risposto al trattamento (15 su 21), rispetto al 5% del gruppo trattato con placebo (1 su 20). Risultati analoghi sono stati osservati nel secondo studio con il 67% di risposta a Diacomit (8 su 12) e il 9% a placebo (1 su 9).

Qual è il rischio associato a Diacomit?

Gli effetti indesiderati più comuni di Diacomit (osservati in più di 1 paziente su 10) sono perdita di appetito, perdita di peso, insonnia, sonnolenza, atassia (incapacità di coordinare i movimenti muscolari), ipotonia (debolezza muscolare) e distonia (disturbi muscolari). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Diacomit, vedere il foglio illustrativo.

Diacomit non deve essere somministrato a pazienti che sono stati affetti da psicosi (un serio stato mentale con un senso della realtà distorto) con attacchi di delirio (uno stato mentale con confusione, eccitazione, irrequietezza e allucinazioni). Particolare attenzione va prestata qualora Diacomit viene

utilizzato contemporaneamente ad altri medicinali. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché è stato approvato Diacomit?

Il CHMP ha concluso che Diacomit ha dimostrato la sua efficacia nella EMSI, nonostante gli studi siano limitati e la loro durata sia inferiore a quanto previsto dal comitato. Quest'ultimo ha deciso che i benefici di Diacomit sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Diacomit ha ottenuto originariamente un'«approvazione condizionata» perché sarebbero state disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, in particolare per quanto riguarda la sua efficacia e sicurezza di breve e lungo periodo. Poiché la ditta produttrice ha fornito le necessarie informazioni aggiuntive, l'autorizzazione è stata modificata da "condizionata" a "completa".

Altre informazioni su Diacomit

Il 4 gennaio 2007 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata per Diacomit, valida in tutta l'Unione europea. L'autorizzazione è stata trasformata in un'autorizzazione all'immissione in commercio completa l'8 gennaio 2014.

Per la versione completa dell'EPAR di Diacomit consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Diacomit, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Diacomit è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 06-2014.