



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-samenvatting voor het publiek

---

# Diacomit

## stiripentol

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Diacomit. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Diacomit vast te stellen.

### Wat is Diacomit?

Diacomit is een geneesmiddel tegen epilepsie dat de werkzame stof stiripentol bevat. Het is verkrijgbaar in de vorm van capsules en sachets (250 en 500 mg). De sachets bevatten een poeder ter bereiding van een orale suspensie (een vloeistof met vaste deeltjes erin).

### Wanneer wordt Diacomit voorgeschreven?

Diacomit wordt gebruikt bij kinderen met een zeer zeldzame vorm van epilepsie aangeduid als 'ernstige myoklonische epilepsie op zeer jonge leeftijd' (SMEI), ook wel het syndroom van Dravet genoemd. Deze vorm van epilepsie manifesteert zich bij jonge kinderen voor het eerst gedurende het eerste levensjaar. Diacomit wordt gebruikt in combinatie met clobazam en valproaat (andere anti-epileptische geneesmiddelen) ter behandeling van gegeneraliseerde tonisch-klonische insulten (zware aanvallen, waaronder bewusteloosheid) wanneer deze onvoldoende onder controle worden gebracht met clobazam en valproaat.

Aangezien het aantal patiënten met SMEI klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Diacomit op 5 december 2001 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.



## Hoe wordt Diacomit gebruikt?

Diacomit mag alleen worden toegediend onder toezicht van een arts die gespecialiseerd is in het diagnosticeren en behandelen van epilepsie bij kinderen (een kinderarts of kinderneuroloog). De aanbevolen dosering is 50 mg per kilogram lichaamsgewicht per dag, verdeeld over twee of drie doses. De behandeling bestaat uit een aanvangsdosis van 20 mg per kg lichaamsgewicht, die in de loop van een aantal weken, afhankelijk van de leeftijd van de patiënt, geleidelijk aan verhoogd wordt tot de aanbevolen dosis. Nadat met Diacomit is begonnen, moet de dosis clobazam wellicht worden verlaagd. De dosis valproaat hoeft meestal niet te worden aangepast.

De belangrijkste studies naar Diacomit zijn uitgevoerd onder kinderen van drie jaar en ouder. De beslissing om Diacomit bij jongere kinderen te gebruiken dient op basis van de individuele patiënt te worden genomen: de behandeling mag alleen worden ingesteld wanneer de diagnose SMEI bevestigd is.

Diacomit moet altijd met voedsel worden ingenomen, maar niet met zuivelproducten, koolzuurhoudende dranken, vruchtensap of voedingsmiddelen en dranken die cafeïne of theofylline (een stof die onder andere voorkomt in zwarte en groene thee) bevatten.

## Hoe werkt Diacomit?

Hoe stiripentol, de werkzame stof in Diacomit, als anti-epileptisch geneesmiddel precies werkt, is niet helemaal bekend. In proefmodellen is gebleken dat het de spiegels van de 'neurotransmitter' gamma-aminoboterzuur (GABA) in de hersenen verhoogt. GABA is de belangrijkste substantie in zenuwcellen die verantwoordelijk is voor het verminderen van de elektrische activiteit van de hersenen. Ook is bekend dat het de werking van andere anti-epileptische geneesmiddelen versterkt en dat het de snelheid waarmee de lever deze middelen afbreekt, vertraagt.

## Hoe is Diacomit onderzocht?

Diacomit is onderzocht in twee hoofdstudies onder 65 kinderen tussen 3 en 18 jaar oud. Tijdens de studies werd Diacomit (capsules of sachets) vergeleken met een placebo (een schijnbehandeling) door deze middelen toe te voegen aan de bestaande behandeling van de kinderen met clobazam en valproaat. De voornaamste graadmeter voor beoordeling van de werkzaamheid was het aantal patiënten dat op de behandeling 'reageerde'. Wanneer het aantal aanvallen tijdens de tweede maand van de behandeling ten minste 50% lager was dan tijdens de maand voordat de behandeling werd gestart, werd dit als een respons aangemerkt.

## Welke voordelen bleek Diacomit tijdens de studies te hebben?

Op de behandeling met Diacomit reageerden meer patiënten dan op de placebo. In de eerste studie reageerde 71% van de patiënten die Diacomit gebruikten op de behandeling (15 van de 21), tegenover 5% van de placebogroep (1 van de 20). De tweede studie leverde vergelijkbare resultaten op: 67% reageerde op Diacomit (8 van de 12) en 9% op de placebo (1 van de 9).

## Welke risico's houdt het gebruik van Diacomit in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Diacomit (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) zijn verlies van eetlust, gewichtsverlies, slaperigheid (moeite om in slaap te vallen), slaperigheid, ataxie (onvermogen om de spierbewegingen te coördineren), hypotonie (lage spierspanning) en dystonie (spieraandoeningen). Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Diacomit.

Diacomit mag niet worden gebruikt bij patiënten met een voorgeschiedenis van psychosen (een ernstige geestelijke toestand met een vervormde realiteitszin) met deliriumaanvallen (een geestelijke toestand met verwarring, opwinding, rusteloosheid en hallucinaties). Wanneer Diacomit gelijktijdig met andere geneesmiddelen wordt gebruikt, is zorgvuldigheid geboden. Zie de bijsluiter voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

## **Waarom is Diacomit goedgekeurd?**

Het CHMP heeft geconcludeerd dat de werkzaamheid van Diacomit bij SMEI was aangetoond, ook al waren de studies beperkt en duurden ze niet zo lang als het Comité verwachtte. Het CHMP heeft besloten dat de voordelen van Diacomit groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van het middel.

Aan Diacomit was aanvankelijk 'voorwaardelijke goedkeuring' verleend omdat er meer informatie over het geneesmiddel moest volgen, met name wat de werkzaamheid en veiligheid ervan betreft op korte en lange termijn. Aangezien de firma de noodzakelijke aanvullende informatie heeft verstrekt, werd de voorwaardelijke goedkeuring omgezet in een normale goedkeuring.

## **Overige informatie over Diacomit**

De Europese Commissie heeft op 4 januari 2007 een in de hele Europese Unie geldige voorwaardelijke vergunning voor het in de handel brengen van Diacomit verleend. Deze is omgezet in een volledige handelsvergunning op 8 januari 2014.

Het volledige EPAR voor Diacomit is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Diacomit.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Diacomit is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 06-2014.