

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Diacomit

stiripentol

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Diacomit. Det förklarar hur kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Diacomit?

Diacomit är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen stiripentol. Det finns som kapslar och dospåsar (250 mg och 500 mg). Dospåsarna innehåller ett pulver som bereds till en oral suspension (en vätska som innehåller fasta partiklar).

Vad används Diacomit för?

Diacomit ges till barn med en mycket sällsynt typ av epilepsi, s.k. "allvarlig myoklon epilepsi i barndomen" (SMEI), som även kallas Dravets syndrom. Den här typen av epilepsi uppträder först hos spädbarn under första levnadsåret. Diacomit ges som tillägg till klobazam och valproat (andra antiepileptiska läkemedel) för behandling av generaliserade tonisk-kloniska anfall (större anfall, inklusive medvetandeförlust) när dessa inte kontrolleras ordentligt med klobazam och valproat.

Eftersom antalet patienter med SMEI är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Diacomit klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 5 december 2001.

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Diacomit?

Behandling med Diacomit ska endast ges under överinseende av läkare med erfarenhet av diagnos och behandling av epilepsi hos barn (pediatriker eller pediatrik neurolog). Den normala dosen är 50 mg

per kilo kroppsvikt, uppdelad i två eller tre doser under dagen. Behandlingen inleds med en dos på 20 mg per kilo kroppsvikt som sedan ökas successivt under ett antal veckor till den rekommenderade dosen. I vilken takt doserna ökas beror på patientens ålder. Efter att behandling med Diacomit inletts kan dosen klobazam behöva minskas. Dosen valproat behöver normalt inte justeras. Huvudstudierna av Diacomit gjordes på barn över tre år. Beslut om att ge Diacomit till småbarn ska baseras på den enskilda patienten. Diacomit kan endast ges till yngre barn om diagnosen SMEI har fastställts.

Diacomit ska ges tillsammans med mat, men inte med mejeriprodukter, kolsyrade drycker, fruktjuice eller mat och dryck som innehåller koffein eller teofyllin (en substans som bland annat förekommer i svart och grönt te).

Hur verkar Diacomit?

Det är inte känt exakt hur stiripentol, den aktiva substansen i Diacomit, verkar som antiepileptiskt läkemedel. I experimentmodeller har det dock visats att stiripentol ökar nivåerna av signalsubstansen gammaaminosmörtsyra (GABA) i hjärnan. GABA är den viktigaste substansen när det gäller att minska den elektriska aktiviteten i hjärnans nervceller. Stiripentol är även känt att öka effekten hos andra antiepileptiska läkemedel och sakta ned den hastighet med vilken de bryts ned i levern.

Hur har Diacomits effekt undersökts?

Diacomit har undersökts i två huvudstudier på 65 barn i åldern 3–18 år. I studierna jämfördes Diacomit (kapslar eller dospåsar) med placebo (overksam behandling), när det gavs som tillägg till barnens pågående behandling med klobazam och valproat. Det viktigaste måttet på effekt var antalet patienter som svarade på behandlingen. En patient ansågs svara på behandlingen om antalet anfall under den andra månaden av behandlingen med Diacomit var minst 50 procent färre än antalet anfall under månaden innan behandlingen inleddes.

Vilken nytta har Diacomit visat vid studierna?

Fler patienter svarade på behandlingen med Diacomit jämfört med placebo. I den första studien svarade 71 procent av patienterna som fick Diacomit på behandlingen (15 av 21), jämfört med 5 procent av patienterna i placebogruppen (1 av 20). Liknande resultat sågs i den andra studien, där 67 procent svarade på Diacomit (8 av 12) och 9 procent på placebo (1 av 9).

Vilka är riskerna med Diacomit?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Diacomit (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är aptitförlust, viktnedgång, sömnlöshet, sömnighet, ataxi (oförmåga att koordinera muskelrörelserna), hypotoni (låg muskelstyrka) och dystoni (muskelpåslag). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Diacomit finns i bipacksedeln.

Diacomit får inte ges till patienter som har haft psykos (allvarliga psykiska tillstånd med förvrängda verklighetsuppfattningar) med deliriumanfall (psykiska tillstånd med förvirring, upphetsning, rastlöshet och hallucinationer). Försiktighet måste iaktas när Diacomit används tillsammans med andra läkemedel. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför har Diacomit godkänts?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att Diacomit visat sig vara effektivt för behandling av SMEI, även om studierna var begränsade och inte varade så länge som kommittén hade förväntat sig.

Kommittén fann att nyttan med Diacomit är större än riskerna och rekommenderade att Diacomit skulle godkännas för försäljning.

Diacomit godkändes ursprungligen i enlighet med reglerna om "villkorat godkännande", eftersom det väntades komma ytterligare uppgifter om läkemedlet, särskilt när det gäller dess kortsiktiga och långsiktiga effekt och säkerhet. Då företaget lämnat de ytterligare uppgifter som krävdes har godkännandet ändrats från villkorligt till fullständigt godkännande.

Mer information om Diacomit

Den 4 januari 2007 beviljade Europeiska kommissionen ett villkorligt godkännande för försäljning av Diacomit som gäller i hela EU. Den 8 januari 2014 ändrades detta godkännande till ett fullständigt godkännande för försäljning.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Mer information om behandling med Diacomit finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Diacomit från kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats : [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2014.