



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/452944/2015
EMA/H/C/003834

Резюме на EPAR за обществено ползване

Raxone

idebenone

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Raxone. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Raxone.

За практическа информация относно употребата на Raxone, пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Raxone и за какво се използва?

Raxone е лекарство, което се използва за лечение на зрително увреждане при възрастни и юноши на 12 години и по-големи с наследствена оптична невропатия на Лебер (LHON) — наследствено заболяване, което се характеризира с прогресивна загуба на зрение. Raxone съдържа активното вещество идебенон (*idebenone*).

Тъй като броят на пациентите с наследствена оптична невропатия на Лебер е малък, болестта се счита за „рядка“ и Raxone е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 15 февруари 2007 г.

Raxone е „хибридно лекарство“. Това означава, че е подобно на „референтно лекарство“, което съдържа същото активно вещество, но Raxone съдържа идебенон в друга концентрация. Референтното лекарство за Raxone е Mnesis (таблетки от 45 mg).

Как се използва Raxone?

Raxone се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да започне и да се наблюдава от лекар с опит в лечението на LHON. Raxone се предлага под формата на таблетки от 150 mg и препоръчителната доза е две таблетки за прием три пъти дневно с храна.



Как действа Рахоне?

Активното вещество в Рахоне, идебенон, представлява антиоксидантно средство, което действа върху митохондриите (структури във вътрешността на клетките, които произвеждат енергията, необходима за функциониране на клетките). Пациентите, страдащи от LHON, имат мутации (дефекти) в генетичния материал на митохондриите. Това означава, че митохондриите не функционират правилно, за да генерират енергия, и произвеждат токсични форми на кислород (свободни радикали), които увреждат нервните клетки в окото, необходими за зрението. Счита се, че идебенон помага за подобряване на производството на енергия чрез възстановяване на функцията на митохондриите, като по този начин предотвратява клетъчното увреждане и загубата на зрение, които се наблюдават при LHON.

Какви ползи от Рахоне са установени в проучванията?

Рахоне е изследван в едно основно проучване при 85 пациенти с LHON, в което е сравнен с плацебо (сляпо лечение) в продължение на 24 седмици. Основната мярка за ефективност е подобрение на зрението, най-вече въз основа на броя букви, които пациентите са способни да прочетат върху стандартна таблица за изследване на очите. До края на проучването пациентите, лекувани с Рахоне, са способни да прочетат средно 3 до 6 букви повече в сравнение с пациентите, приемащи плацебо. Освен това в края на проучването някои пациенти, класифицирани като „неподлежащи на изследване чрез таблицата“ (неспособни да прочетат нито една буква върху нея), са способни да прочетат най-малко един ред при изследване на очите след лечение и се счита, че това също има клинично значение. В допълнение при 30% от пациентите, лекувани с Рахоне (16 от 53), има клинично значимо възстановяване на зрението в поне едно око в сравнение с 10% от пациентите (3 от 29) в групата с плацебо.

Допълнителни данни в подкрепа на ползите от Рахоне идват от програма за разширен достъп, съгласно която Рахоне се предоставя на отделни пациенти, които не участват в клинично проучване, и от проучване на медицинските картони, предоставящо данни от пациенти с LHON, на които не е прилагано лечение.

Анализите на всички тези данни показват последователен модел, при който по принцип голям дял от пациентите, лекувани с Рахоне, имат подобрение на зрението в сравнение с нелекуваните пациенти или пациентите, лекувани с плацебо.

Какви са рисковете, свързани с Рахоне?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Рахоне (които е възможно да засегнат повече от 1 на 10 души) са назофарингит и кашлица. Леката до умерена диария и болките в гърба също са чести (засягат не повече от 1 на 10 души).

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения, съобщени при Рахоне, вижте листовката.

Защо Рахоне е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Рахоне са по-големи от рисковете, и препоръча Рахоне да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Комитетът отбеляза липсата на лечения за превенция или реверсиране на загубата на зрение при пациенти с LHON. Резултатите от основното проучване показват подобрение на зрението при пациенти, лекувани с Рахоне, и тази тенденция за полезно действие е потвърдена с

допълнителни данни от програма за разширен достъп и проучване на медицинските картони. По отношение на безопасността на Raxone голяма част от нежеланите реакции, наблюдавани при лекарството, са леки или умерени по тежест.

Raxone е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Raxone поради рядкото разпространение на болестта. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква да бъде получена за Raxone?

Тъй като Raxone е разрешен за употреба при извънредни обстоятелства фирмата, която предлага Raxone, ще проведе допълнителни проучвания относно дългосрочните ефекти и безопасността на Raxone и ще създаде и води регистър на пациентите с LHON, лекувани с Raxone.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Raxone?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Raxone се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Raxone, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

Допълнителна информация може да се намери в [резюмето на плана за управление на риска](#)

Допълнителна информация за Raxone:

Пълният текст на EPAR и резюме на плана за управление на риска за Raxone може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Raxone прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Raxone може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).