



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

# Raxone

idebenonum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Raxone. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Raxone používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Raxone, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

## Co je Raxone a k čemu se používá?

Raxone je léčivý přípravek používaný k léčbě poruch zraku u dospělých a dospívajících od 12 let věku s Leberovou hereditární optickou neuropatií (LHON), což je vrozené onemocnění charakterizované progresivní ztrátou zraku. Přípravek Raxone obsahuje léčivou látku idebenon.

Jelikož počet pacientů s Leberovou hereditární optickou neuropatií je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Raxone byl dne 15. února 2007 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Raxone je „hybridní léčivý přípravek“. Znamená to, že je obdobou „referenčního léčivého přípravku“, který obsahuje stejnou léčivou látku, ale přípravek Raxone obsahuje idebenon v jiné síle. Referenčním přípravkem přípravku Raxone je Mnesis (45mg tablety).

## Jak se přípravek Raxone používá?

Výdej přípravku Raxone je vázán na lékařský předpis a léčba by měla být zahájena a vedena pod dozorem lékaře, který má zkušenosti s Leberovou hereditární optickou neuropatií (LHON). Přípravek



Raxone je k dispozici ve formě 150mg tablet a doporučená dávka jsou dvě tablety třikrát denně užívané s jídlem.

## **Jak přípravek Raxone působí?**

Léčivá látka v přípravku Raxone, idebenon, je antioxidační látka, která působí na mitochondrie (struktury uvnitř buněk, které vytvářejí energii nezbytnou pro buněčné funkce). Pacienti postižení Leberovou hereditární optickou neuropatií (LHON) mají mutace (defekty) v genetickém materiálu mitochondrií. To znamená, že mitochondrie nevytvářejí správně energii a produkují toxické formy kyslíku (volné radikály), které poškozují nervové buňky oka nutné k vidění. Idebenon má pomáhat zlepšit tvorbu energie prostřednictvím obnovy funkce mitochondrií a tím předcházet poškození buněk a ztrátám zraku pozorovaným u LHON.

## **Jaké přínosy přípravku Raxone byly prokázány v průběhu studií?**

Přípravek Raxone byl zkoumán v jedné hlavní studii, která zahrnovala 85 pacientů s LHON a srovnávala tento přípravek s placebem (léčbou neúčinným přípravkem) po dobu 24 týdnů. Hlavním měřítkem účinnosti bylo zlepšení zraku, vycházející především z počtu písmen, které byli pacienti schopni přečíst na běžném optotypu. Ke konci studie byli pacienti léčení přípravkem Raxone schopni přečíst v průměru o 3 až 6 písmen více než pacienti, kteří dostávali placebo. Někteří pacienti, kteří byli na začátku studie klasifikováni jako „mimo optotyp“ (nebyli schopni na optotypu přečíst žádné písmeno), byli navíc po léčbě schopni přečíst při očním vyšetření nejméně jeden řádek, což bylo také považováno za klinicky významné. Kromě toho došlo u 30 % pacientů (16 z 53) léčených přípravkem Raxone ke klinicky relevantnímu navrácení zraku nejméně v jednom oku v porovnání s 10 % pacientů (3 z 29) ve skupině s placebem.

Další údaje dokládající přínos přípravku Raxone pocházejí z programu rozšířeného přístupu, díky kterému byl přípravek Raxone zpřístupněn jednotlivým pacientům, kteří se neúčastnili klinické studie, a z průzkumu zaznamenaných případů, který zahrnoval údaje od neléčených pacientů s LHON.

Analýzy všech těchto dat ukázaly shodné výsledky, kdy obecně došlo u pacientů léčených přípravkem Raxone ke zlepšení zraku ve větší míře než u pacientů neléčených nebo užívajících placebo.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Raxone?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Raxone (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10), jsou nazofaryngitida a kašel; časté (postihující až 1 osobu z 10) jsou také mírný až středně závažný průjem a bolest zad.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Raxone je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Raxone schválen?**

Výbor CHMP agentury rozhodl, že přínosy přípravku Raxone převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU.

Výbor poukázal na absenci léčby v prevenci ztráty zraku nebo zvrácení procesu ztráty zraku u pacientů s LHON. Výsledky hlavní studie ukázaly u pacientů léčených přípravkem Raxone zlepšení zraku a tento trend k příznivému účinku potvrdily další údaje z programu rozšířeného přístupu a z průzkumu zaznamenaných případů. Z hlediska bezpečnosti přípravku Raxone byla většina nežádoucích účinků pozorovaných u tohoto léčivého přípravku mírné až středně závažné intenzity.

Přípravek Raxone byl registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Raxone získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

### **Jaké informace o přípravku Raxone nebyly dosud předloženy?**

Jelikož přípravek Raxone byl schválen za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Raxone dodává na trh, provede dodatečné studie dlouhodobé účinnosti a bezpečnosti přípravku Raxone a zavede a bude udržovat registr pacientů s LHON léčených přípravkem Raxone.

### **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Raxone?**

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Raxone byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Raxone zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti.

Další informace jsou uvedeny ve [shrnutí plánu řízení rizik](#).

### **Další informace o přípravku Raxone**

Plné znění zprávy EPAR a shrnutí plánu řízení rizik pro přípravek Raxone je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Další informace o léčbě přípravkem Raxone naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Raxone vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).