



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Raxone

idebenon

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Raxone. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Raxone bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Raxone, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Raxone, og hvad anvendes det til?

Raxone er et lægemiddel til behandling af nedsat syn hos voksne og unge over 12 år med den arvelige sygdom Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON), der er kendetegnet ved fremadskridende synstab. Raxone indeholder det aktive stof idebenon.

Da antallet af patienter med Lebers hereditære opticus-neuropati er lavt, betragtes sygdommen som "sjældnen", og Raxone blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 15. februar 2007.

Raxone er et "hybridt lægemiddel". Det vil sige, at det svarer til et "referencelægemiddel", der indeholder samme aktive stof, men Raxone indeholder en anden styrke af idebenon. Referencelægemidlet for Raxone er Mnesis (45 mg tabletter).

Hvordan anvendes Raxone?

Raxone fås kun på recept, og ordination og behandlingen bør påbegyndes og overvåges af en læge med erfaring i LHON. Raxone leveres som tabletter (150 mg). Den anbefalede dosis af Raxone er to tabletter tre gange dagligt, der tages sammen med måltiderne.



Hvordan virker Raxone?

Det aktive stof i Raxone, idebenon, er et antioxiderende middel, der virker på mitokondrierne, som er cellernes indvendige strukturer, der producerer den energi, cellerne behøver for at fungere. Patienter med LHON har defekter (mutationer) i mitokondriernes genetiske materiale. Derfor fungerer mitokondriernes energiproduktion ikke som den skal, og de producerer giftige former for ilt (frie radikaler), som beskadiger de nerveceller i øjnene, der er nødvendige for synet. Idebenon menes at forbedre energiproduktionen ved at genetablere mitokondriernes funktion, hvorved det forebygger den cellebeskadigelse og det synstab, der ses ved LHON.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Raxone?

Raxone er undersøgt i én hovedundersøgelse med 85 patienter med LHON. I undersøgelsen blev Raxone sammenlignet med placebo (virkningsløs behandling) i 24 uger. Det vigtigste mål for virkningen var forbedringen i synet, hovedsagelig ud fra det antal bogstaver, patienterne kunne læse på en almindelig synstavle. Ved slutningen af undersøgelsen var de patienter, der havde fået Raxone, i gennemsnit i stand til at læse tre til seks bogstaver mere end de, der havde fået placebo. Nogle patienter, der i begyndelsen af undersøgelsen slet ikke kunne læse nogen bogstaver på tavlen ("off chart"), kunne desuden ved synsprøven efter behandlingen læse mindst én linje, og også dette blev anset for klinisk vigtigt. Endvidere fik 30 % af de patienter, der blev behandlet med Raxone (16 ud af 53) klinisk betydningsfuld bedring af synet på mindst ét øje, sammenholdt med 10 % (3 ud af 29) af dem, der fik placebo.

Der var yderligere støttende oplysninger om fordelene ved Raxone, dels i et program til udvidet adgang, hvor Raxone blev stillet til rådighed for enkeltpatienter, der ikke deltog i en klinisk undersøgelse, dels en gennemgang af journaler med oplysninger om LHON-patienter, som ikke fik nogen behandling.

Ved analyse af alle disse data sås et vedholdende mønster, hvor en større andel af de patienter, der blev behandlet med Raxone, fik bedre syn end de, der ikke blev behandlet eller blev behandlet med placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Raxone?

De hyppigste bivirkninger med Raxone (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er betændelse i næse og svælg (nasofaryngitis) og hoste; let til moderat diarré, forkølelse og rygsmerter er også almindelige (forekommer hos op til 1 ud af 10 personer).

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger med Raxone fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Raxone godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) afgjorde, at fordelene ved Raxone er større end risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Udvalget bemærkede, at der savnes behandlinger, der forebygger eller afhjælper synstabet hos patienter med LHON. Hovedundersøgelsen viste bedring i synet hos patienter behandlet med Raxone, og denne tendens til gavnlig virkning blev bekræftet af supplerende oplysninger fra et program til udvidet adgang og en gennemgang af journaler. Vedrørende sikkerheden af Raxone var størstedelen af de iagttagne bivirkninger med lægemidlet lette til moderate i styrke.

Raxone er godkendt under "særlige omstændigheder". Det betyder, at det ikke har været muligt at opnå fuldstændig dokumentation for Raxone, fordi sygdommen er sjælden. Hvert år gennemgår Det

Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Raxone?

Da Raxone er godkendt under særlige omstændigheder, skal den virksomhed, der markedsfører Raxone, udføre supplerende undersøgelser af Raxones virkninger og sikkerhed på lang sigt og skal føre et register over LHON-patienter, der får lægemidlet.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Raxone?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Raxone anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Raxone, herunder passende forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge.

Yderligere information fremgår af [resuméet af risikostyringsplanen](#).

Andre oplysninger om Raxone

Den fuldstændige EPAR og resuméet af risikostyringsplanen for Raxone findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Raxone, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Raxone findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.