



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Raxone

idebenoni

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Raxone-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä ja suosituksiin lääkevalmisteen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Raxonen käytöstä.

Potilas saa Raxonen käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Raxone on ja mihin sitä käytetään?

Raxonella hoidetaan näön heikkenemistä aikuisilla ja vähintään 12-vuotiailla nuorilla, jotka sairastavat Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumaa, jolle on tyypillistä etenevä näön heikkeneminen. Raxonen vaikuttava aine on idebenoni.

Koska Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumaa sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi; Raxone nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 15. helmikuuta 2007.

Raxone on ns. hybridilääke. Tämä tarkoittaa sitä, että se on samanlainen kuin alkuperäislääkevalmiste ja sisältää samaa vaikuttavaa ainetta, mutta eri vahvuutena. Raxonen alkuperäislääkevalmiste on Mnesis (45 mg:n tabletit).

Miten Raxonea käytetään?

Raxonea saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumasta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Raxonea on saatavana 150 mg:n tabletteina, ja suositeltava annos on kaksi tablettia kolmesti päivässä ruuan kanssa otettuina.



Miten Raxone vaikuttaa?

Raxonen vaikuttava aine idebenoni on antioksidantti, joka vaikuttaa mitokondrioihin (solun sisällä oleviin rakenteisiin, jotka tuottavat solun toimintaan tarvittavan energian). Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumaa sairastavien potilaiden mitokondrioiden perintöaineksessa on mutaatioita (vikoja). Siksi mitokondriot eivät pysty tuottamaan energiaa asianmukaisesti, vaan tuottavat happea myrkyllisessä muodossa (vapaina radikaaleina). Tällöin näkemiseen tarvittavat silmän hermosolut vaurioituvat. Idebenonin uskotaan parantavan energiantuotantoa palauttamalla mitokondrioiden toiminnan, mikä estää soluvaurioita ja Leberin perinnöllisessä näköhermosurkastumassa ilmenevää näön menetystä.

Mitä hyötyä Raxonesta on havaittu tutkimuksissa?

Raxonea on tutkittu yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 85 Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumaa sairastavaa potilasta. Sitä verrattiin tutkimuksessa lumelääkkeeseen 24 viikon ajan. Tehon päämittana oli näöntarkkuuden paraneminen, jota mitattiin lähinnä sillä, montako kirjainta potilas pystyi lukemaan tavanomaisesta näkötestitaulusta. Tutkimuksen lopussa Raxone-hoitoa saaneet potilaat pystyivät lukemaan keskimäärin 3–6 kirjainta enemmän kuin lumelääkettä saaneet potilaat. Lisäksi jotkut potilaat, jotka eivät olleet pystyneet lukemaan tutkimuksen alussa yhtäkään taulun kirjainta, pystyivät lukemaan vähintään yhden rivin näkötestissä hoidon jälkeen. Tätä tulosta pidettiin myös kliinisesti merkittävänä. Lisäksi 30 prosentilla Raxone-hoitoa saaneista potilaista (16 potilaalla 53 potilaasta) näkö parani kliinisesti merkittävästi ainakin toisessa silmässä. Vastaava osuus lumelääkeryhmässä oli 10 prosenttia potilaista (3 potilasta 29 potilaasta).

Lisää Raxonen hyötyä tukevaa tietoa saatiin jatkuvan käytön ohjelmasta, jossa Raxonea annettiin yksittäisille potilaille, jotka eivät osallistuneet kliiniseen tutkimukseen, ja tapaustutkimuksesta, joka sisälsi tietoa Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumaa sairastavista potilaista, jotka eivät saaneet mitään hoitoa.

Näiden tietojen analyysi osoitti johdonmukaisesti, että näkö parani suuremmalla osuudella Raxone-hoitoa saaneista potilaista kuin hoitamattomista tai lumelääkettä saaneista potilaista.

Mitä riskejä Raxoneen liittyy?

Raxonen yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat nenän ja nielun tulehdus sekä yskä. Myös lievä ripuli ja selkäkipu ovat yleisiä (saattaa aiheutua yhdelle kymmenestä potilaasta).

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Raxonen ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Raxone on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Raxonen hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Lääkevalmistekomitea pani merkille, että Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumaa sairastaville potilaille ei ole hoitoja, jotka ehkäisevät sokeutumista tai parantavat näköä. Päätutkimuksen tulokset osoittivat, että Raxone-hoitoa saaneiden potilaiden näkö parani. Jatkuvan käytön ohjelmasta ja tapaustutkimuksesta saadut lisätiedot vahvistivat tämän hyötyä koskevan myönteisen suuntauksen. Mitä Raxonen turvallisuuteen tulee, suurin osa lääkkeen aiheuttamista haittavaikutuksista oli lieviä tai keskivaikeita.

Raxone on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Raxonesta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Raxonesta odotetaan vielä saatavan?

Koska Raxonelle on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Raxonea markkinoiva yhtiö tekee lisätutkimuksia Raxonen pitkäaikaisvaikutuksista ja turvallisuudesta. Lisäksi yhtiö perustaa rekisterin, jossa on tietoa Raxone-hoitoa saaneista Leberin perinnöllistä näköhermosurkastumaa sairastavista potilaista, ja ylläpitää sitä.

Miten voidaan varmistaa Raxonen turvallinen ja tehokas käyttö?

Raxonen mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on laadittu riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaisesti Raxonen valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on liitetty turvallisuustietoa mukaan lukien tiedot asianmukaisista varotoimista terveydenhoidon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Lisätietoja löytyy [riskinhallintasuunnitelman yhteenvedosta](#).

Muita tietoja Raxonesta

Raxonea koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan sekä riskinhallintasuunnitelman yhteenveto ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisää tietoa Raxonella annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Raxonea koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.