



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Résumé EPAR à l'intention du public

Raxone

idébénone

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Raxone. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé a conduit à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Raxone.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Raxone, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Raxone et dans quel cas est-il utilisé?

Raxone est un médicament utilisé dans le traitement des troubles de la vision chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus, atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie héréditaire caractérisée par une perte progressive de la vue. Raxone contient le principe actif idébénone.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la neuropathie optique héréditaire de Leber, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi, Raxone a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares), le 15 février 2007.

Raxone est un «médicament hybride». Cela signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant le même principe actif, mais Raxone contient de l'idébénone à une concentration différente. Le médicament de référence pour Raxone est Mnesis (comprimés, 45 mg).

Comment Raxone est-il utilisé?

Raxone n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans la prise en charge de la NOHL. Raxone est disponible en comprimés (150 mg) et la dose recommandée est de deux comprimés à prendre trois fois par jour avec de la nourriture.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Comment Raxone agit-il?

Le principe actif de Raxone, l'idébénone, est un agent antioxydant qui agit sur les mitochondries (des structures à l'intérieur des cellules, qui produisent l'énergie nécessaire au fonctionnement des cellules). Les patients atteints de NOHL sont porteurs de mutations (défauts) dans le matériel génétique des mitochondries. Cela signifie que les mitochondries ne fonctionnent pas correctement pour générer de l'énergie et produisent des formes toxiques d'oxygène (des radicaux libres) qui endommagent les cellules nerveuses de l'œil nécessaires à la vue. L'idébénone semble contribuer à l'amélioration de la production d'énergie en rétablissant le fonctionnement des mitochondries, ce qui empêche l'endommagement des cellules et la perte de la vue observés dans la NOHL.

Quels sont les bénéfices de Raxone démontrés au cours des études?

Raxone a fait l'objet d'une étude principale incluant 85 patients atteints de NOHL, dans laquelle le médicament a été comparé à un placebo (un traitement fictif) sur une durée de 24 semaines. Le critère principal d'évaluation était l'amélioration de la vue, fondée essentiellement sur les nombres de lettres que les patients pouvaient lire sur une échelle standard de test de la vue. À la fin de l'étude, les patients traités par Raxone pouvaient lire en moyenne 3 à 6 lettres de plus que les patients ayant pris le placebo. En outre, certains patients, qui avaient été classés «hors échelle» (incapables de lire aucune lettre sur l'échelle d'évaluation) au début de l'étude pouvaient lire au moins une ligne lors du test de la vue après le traitement, ce qui a également été considéré comme cliniquement important. De plus, 30 % des patients traités par Raxone (16 sur 53) présentaient une récupération de la vue pour au moins un œil, par comparaison à 10 % des patients (3 sur 29) du groupe placebo.

Des données complémentaires étayant les bénéfices de Raxone sont issues d'un programme d'accès élargi, dans le cadre duquel Raxone a été mis à la disposition de patients individuels ne participant pas à une étude clinique, ainsi que d'une enquête sur les enregistrements de cas, incluant des données concernant des patients atteints de NOHL qui ne recevaient aucun traitement.

Des analyses de l'ensemble de ces données ont montré un profil cohérent, indiquant qu'en général une forte proportion des patients traités par Raxone bénéficiaient d'une amélioration de la vue par comparaison aux patients non traités ou ayant reçu le placebo.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Raxone?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Raxone (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: rhinopharyngite et toux; des diarrhées légères à modérées et des douleurs dorsales sont également fréquentes (pouvant toucher jusqu'à une personne sur 10).

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Raxone, voir la notice.

Pourquoi Raxone est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé que les bénéfices de Raxone sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

Le comité a noté l'absence de traitements permettant de prévenir ou d'inverser la perte de la vue chez les patients atteints de NOHL. Les résultats de l'étude principale ont montré une amélioration de la vue chez les patients traités par Raxone et cette tendance à produire un effet bénéfique a été confirmée par des données complémentaires issues d'un programme d'accès élargi et d'une enquête sur les

enregistrements de cas. Concernant la sécurité de Raxone, la majorité des effets indésirables observés avec le médicament étaient d'intensité légère ou modérée.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Raxone. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Raxone en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Raxone?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Raxone, la société qui commercialise Raxone mènera des études complémentaires sur les effets et la sécurité à long terme de Raxone; elle établira également et tiendra un registre des patients atteints de NOHL et traités par Raxone.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Raxone?

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer que Raxone est utilisé d'une manière aussi sûre que possible. Sur la base de ce plan, des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice de Raxone, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

Pour obtenir des informations complémentaires, voir le [résumé du plan de gestion des risques](#).

Autres informations relatives à Raxone:

L'EPAR complet et le résumé du plan de gestion des risques relatifs à Raxone sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Raxone, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Raxone est disponible sur le site web de l'Agence sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).