



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Raxone

idebenon

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Raxone. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o korištenju lijeka Raxone.

Praktične informacije o korištenju lijeka Raxone bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Raxone i za što se koristi?

Raxone je lijek koji se koristi za liječenje oštećenja vida u odraslih osoba i adolescenata u dobi od 12 godina i starijih s Leberovom nasljednom optičkom neuropatijom (engl. Leber's Hereditary Optic Neuropathy, LHON), nasljednom bolešću koju karakterizira progresivan gubitak vida. Raxone sadrži djelatnu tvar idebenon.

Budući da je broj bolesnika s Leberovom nasljednom optičkom neuropatijom nizak, ta se bolest smatra „rijetkom“ te je lijek Raxone uvršten u skupinu lijekova za rijetke bolesti 15. veljače 2007.

Raxone je „hibridni lijek“. To znači da je sličan „referentnom lijeku“ koji sadrži iste djelatne tvari, no Raxone sadrži idebenon druge jačine. Referentni lijek za lijek Raxone je Mnesis (tablete od 45 mg).

Kako se Raxone koristi?

Raxone se izdaje samo na liječnički recept te liječenje treba započeti i provoditi liječnik s iskustvom u liječenju LHON-a. Raxone je dostupan kao tablete od 150 mg, a preporučena doza je dvije tablete koje se uzimaju tri puta na dan sa hranom.



Kako djeluje Raxone?

Idebenon, djelatna tvar lijeka Raxone, antioksidantno je sredstvo koje djeluje na mitohondrije (strukturalne unutarnje stanice koje proizvode energiju potrebnu za funkcioniranje stanica). Bolesnici koji boluju od LHON-a imaju mutacije (nedostatke) u genetskom materijalu mitohondrija. To znači da mitohondriji ne funkcioniraju ispravno i stvaraju energiju te da proizvode toksične oblike kisika (slobodne radikale) koji oštećuju živčane stanice u oku koje su potrebne za vid. Smatra se da idebenon pomaže u proizvodnji energije tako što ponovno uspostavlja mitohondrijsko djelovanje te stoga sprječava stanično oštećenje i gubitak vida uočen kod LHON-a.

Koje su koristi lijeka Raxone utvrđene u ispitivanjima?

Raxone je ispitan u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 85 bolesnika s LHON-om i usporedilo ga s placebom (lažnim liječenjem) tijekom 24 tjedna. Glavni pokazatelj učinkovitosti bilo je poboljšanje vida, većinom na temelju na broju slova koje su bolesnici bili sposobni pročitati na standardnoj ploči za testiranje vida. Do završetka ispitivanja bolesnici liječeni lijekom Raxone mogli su pročitati prosječno 3 do 6 slova više u odnosu na bolesnike koji su primali placebo. Nadalje, pojedini bolesnici koji su klasificirani kao „najlošiji“ (nisu mogli pročitati nijedno slovo s ploče) na početku ispitivanja, nakon terapije mogli su pročitati najmanje jedan red tijekom testiranja oka, što je također ocijenjeno klinički važnim. Osim toga, 30 % bolesnika liječenih lijekom Raxone (16 od 53) doživjelo je klinički značajan oporavak vida u najmanje jednom oku, u usporedbi s 10 % bolesnika (3 od 29) u placebo skupini.

Dodatni podaci o koristima lijeka Raxone potječu iz programa proširenog ispitivanja kojim je lijek Raxone učinjen dostupnim pojedinim bolesnicima koji nisu sudjelovali u kliničkom ispitivanju te iz pregleda evidencije slučajeva, kojim su obuhvaćeni podaci bolesnika s LHON-om koji nisu primili nikakvo liječenje.

Analize svih ovih podataka pokazale su konzistentan uzorak u skladu s kojim je načelno veći udio bolesnika liječenih lijekom Raxone doživio poboljšanje vida u usporedbi s neliječenim ili placebom liječenim bolesnicima.

Koji su rizici povezani s lijekom Raxone?

Najčešće nuspojave lijeka Raxone (koje su uočene u više od 1 na 10 bolesnika) su nazofaringitis i kašalj; blagi do umjereni proljev i bol u leđima najčešće su nuspojave (zahvaćaju do 1 na 10 osoba).

Potpuni popis nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Raxone potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Raxone odobren?

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi od lijeka Raxone nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji.

Odbor je zaključio da postoji nedostatak terapija za sprječavanje ili poništavanje gubitka vida u bolesnika s LHON-om. Rezultati glavnog ispitivanja pokazali su poboljšanje vida bolesnika liječenih lijekom Raxone te je trend u smjeru korisnog djelovanja potvrđen dodatnim podacima iz programa proširenog ispitivanja i pregleda evidencije slučajeva. Uzimajući u obzir sigurnu primjenu lijeka Raxone, većina nuspojava zabilježenih pri primjeni ovog lijeka bila je blagog ili umjerenog intenziteta.

Raxone je odobren u „iznimnim okolnostima“. Tome je razlog nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Raxone zbog rijetkosti bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Raxone?

Budući da je lijek Raxone odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja lijek Raxone stavlja u promet mora provesti dodatna ispitivanja o dugoročnom djelovanju i sigurnoj primjeni lijeka Raxone te utvrditi i održavati registar bolesnika s LHON-om liječenih lijekom Raxone.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Raxone?

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Raxone. Na temelju tog plana u sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi o lijeku za lijek Raxone nalaze se sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Dodatne informacije možete pronaći u [sažetku plana upravljanja rizikom](#)

Ostale informacije o lijeku Raxone

Cjeloviti EPAR za lijek Raxone kao i sažetak plana upravljanja rizikom za taj lijek možete pronaći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Više informacija o terapiji lijekom Raxone pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Raxone dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)