



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiamaj visuomenei

Raxone

idebenonas

Šis dokumentas yra Raxone Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Raxone.

Praktinės informacijos apie Raxone vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Raxone ir kam jis vartojamas?

Raxone – tai vaistas, kuriuo gydomas paveldima Leberio optine neuropatija (PLON, paveldima liga, dėl kurios paciento regėjimas nuolat silpsta) sergančių suaugusiųjų ir paauglių nuo 12 metų regėjimo sutrikimas. Raxone sudėtyje yra veikliosios medžiagos idebenono.

Kadangi paveldima Leberio optine neuropatija (PLON) sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta ir 2007 m. vasario 15 d. Raxone buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Raxone yra hibridinis vaistas. Tai reiškia, kad Raxone panašus į referencinį vaistą, kurio sudėtyje yra tos pačios veikliosios medžiagos, bet jame naudojamas skirtingo stiprumo idebenonas. Referencinis Raxone vaistas yra Mnesis (45 mg tabletės).

Kaip vartoti Raxone?

Raxone galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis PLON gydymo patirties. Gaminamos 150 mg Raxone tabletės; rekomenduojama dozė yra dvi tabletės, kurias reikia vartoti tris kartus per parą su maistu.

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



Kaip veikia Raxone?

Raxone veikioji medžiaga idebenonas yra antioksidantas, kuris veikia mitochondrijas (ląstelėse esančias struktūras, kurios gamina ląstelių funkcionavimui būtiną energiją). PLON sergančių pacientų mitochondrijos yra genetiškai mutavusios (jų genetinė medžiaga turi defektų). Tai reiškia, kad energijos gamyba mitochondrijose sutrikusi ir jos gamina toksiškų formų deguonį (laisvuosius radikalus), kuris pažeidžia regėjimui būtinas akių nervines ląsteles. Manoma, kad idebenonas padeda gerinti energijos gamybą atkurdamas mitochondrijų funkciją ir taip užkerta kelią ląstelių pažeidimui bei regėjimo blogėjimui, kuris pasireiškia sergant PLON.

Kokia Raxone nauda nustatyta tyimuose?

Raxone buvo tiriamas viename pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo 85 PLON sergantys pacientai; šis vaistas buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos) per 24 savaitių gydymo laikotarpį. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo regėjimo pagerėjimas, apie kurį daugiausia buvo sprendžiamą pagal raidžių, kuriuos pacientai galėjo perskaityti regėjimo tikrinimo lentelėje, skaičių. Tyrimo pabaigoje Raxone gydyti pacientai galėjo perskaityti vidutiniškai 3–6 raidėmis daugiau, nei placebo vartoję pacientai. Be kita to, kai kurie pacientai, kurie tyrimo pradžioje buvo priskirti prie negalinių lentelėje perskaityti nė vienos raidės, po gydymo sugebėjo perskaityti bent vieną eilutę; tai taip pat buvo laikoma kliniškai reikšmingu poveikiu. Be to, 30 proc. (16 iš 53) Raxone gydytų pacientų nustatytas kliniškai svarbus regėjimo bent viena akimi pagerėjimas, palyginti su 10 proc. (3 iš 29) pacientų placebo grupėje.

Papildomų patvirtinamųjų duomenų apie Raxone naudą surinkta vykdant išplėstinę Raxone vartojimo programą, kurios metu šio vaisto galėjo gauti klinikiniame tyrime nedalyvaujantys pavieniai pacientai, taip pat iš pavienių atvejų registracijos tyrimo, į kurį buvo įtraukti duomenys apie PLON sergančius pacientus, kurie nebuvo gydomi jokiais vaistais.

Atlikus visų šių duomenų analizes, nustatyta nuosekli tendencija: apskritai, palyginti su negydytais arba placebo vartojusiais pacientais, Raxone grupėje regėjimas pagerėjo didesnei daliai pacientų.

Kokia rizika siejama su Raxone vartojimu?

Dažniausi Raxone šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra nazofaringitas ir kosulys; taip pat dažnai pasireiškia (ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) nestiprus arba vidutinio stiprumo viduriavimas ir nugaros skausmas.

Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų vartojant Raxone sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Raxone patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Raxone nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Komitetas atkreipė dėmesį į tai, kad rinkoje trūksta vaistų, kurie užkirstų kelią PLON sergančių pacientų regėjimo blogėjimui arba jį atstatytų. Pagrindinio tyrimo rezultatai rodo, kad Raxone gydytų pacientų regėjimas pagerėjo, ir šią naudingą poveikio tendenciją patvirtino papildomi išplėstinės vartojimo programos bei pavienių atvejų registracijos tyrimo duomenys. Kalbant apie Raxone saugumą, dauguma šio vaisto sukeltų šalutinių reiškinų buvo lengvi arba vidutinio sunkumo.

Raxone rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Raxone. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir prireikus atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Raxone?

Kadangi Raxone rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, Raxone prekiaujanti bendrovė atliks papildomus ilgalaikio Raxone poveikio ir saugumo tyrimus bei sukurs ir pildys Raxone gydomų PLON sergančių pacientų registrą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Raxone vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Raxone vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Raxone preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Išsamesnę informaciją galima rasti [rizikos valdymo plano santraukoje](#).

Kita informacija apie Raxone

Išsamų Raxone EPAR ir rizikos valdymo plano santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Raxone rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės apie Raxone santrauką rasite agentūros interneto svetainėje: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.