



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Raxone

idebenone

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Raxone. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tagħha. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Raxone.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Raxone, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispizjar tagħhom.

X'inhu Raxone u għal xiex jintuża?

Raxone huwa medicina li tintuża fil-kura ta' adulti u adoloxxenti li għandhom 12-il sena u aktar b'indeboliment viżwali b'newropatija ottika ereditarja ta' Leber (LHON), marda li tintiret, ikkaratterizzata minn telf progressiv tal-vista. Raxone fih is-sustanza attiva idebenone.

Minhabba l-għadd ta' pazjenti li jbatu minn newropatija ottika ereditarja ta' Leber, il-marda hija kkunsidrata bħala 'rari', u fil-15 ta' Frar 2007, Raxone gie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mard rari).

Raxone huwa 'medicina ibrida'. Dan ifisser li huwa simili għal 'medicina ta' referenza' li fiha l-istess sustanza attiva, iżda Raxone fih idebenone f'qawwa differenti. Il-medicina ta' referenza għal Raxone hija Mnesis (pilloli ta' 45 mg).

Kif jintuża Raxone?

Raxone jista' jinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib b'esperjenza f'LHON. Raxone huwa disponibbli bħala pilloli ta' 150 mg, u d-doża rakkomandata hija ta' żewġ pilloli meħudin tliet darbiet kuljum mal-ikel.

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



Kif jaħdem Raxone?

Is-sustanza attiva f'Raxone, l-idebenone, hija aġent anti-ossidant li jaġixxi fuq il-mitokondriji (l-istrutturi fiċ-ċelloli li jipproduċu l-enerġija neċessarja sabiex ikunu jistgħu jiffunzjonaw iċ-ċelloli). Pazjenti affettwati b'LHON għandhom mutazzjonijiet (difetti) fil-materjal ġenetiku tal-mitokondriji. Dan ifisser li l-mitokondriji ma jaħdmux sew biex jiġġeneraw l-enerġija, u jipproduċu forom tossiċi tal-ossigenu (radikali liberi), li jaġhmlu ħsara liċ-ċelloli tan-nervituri fl-għajnejn li huma meħtieġa għall-viżjoni. Idebenone huwa maħsub li jgħin itejjeb il-produzzjoni ta' enerġija billi jirrestawra l-funzjoni mitokondrijali, b'hekk jipprevjeni ħsara ċellulari u t-telf ta' viżjoni li tidher f'LHON.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Raxone li ħarġu mill-istudji?

Raxone ġie investigat fi studju ewlieni wieħed li involva 85 pazjent b'LHON, li fih ġie mqabbel ma' plaċebo (kura finta) fuq perjodu ta' 24 ġimgħa. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien it-titjib fil-viżjoni, fil-biċċa l-kbira tiegħu bbażat fuq l-għadd ta' ittri li l-pazjenti kienu kapaċi jaqraw fuq tabella tat-test tal-għajnejn standard. Sal-aħħar tal-istudju, il-pazjenti kkurati b'Raxone kienu kapaċi jaqraw medja ta' 3 sa 6 ittri iktar meta mqabbel ma' pazjenti li kienu qegħdin jirċievu plaċebo. Barra minn hekk, xi pazjenti li kienu kklassifikati bħala 'off chart' (mhux kapaċi jaqraw ebda ittra mit-tabella) fil-bidu tal-istudju kienu kapaċi jaqraw tal-anqas linja waħda waqt it-test tal-għajnejn wara l-kura, u dan ġie kkunsidrat bħala klinikament importanti wkoll. Barra minn hekk, 30% tal-pazjenti kkurati b'Raxone (16 minn 53) kellhom irkupru klinikament rilevanti tal-viżjoni f'tal-anqas għajnejn waħda, meta mqabbel ma' 10% tal-pazjenti (3 minn 29) fil-grupp tal-plaċebo.

Dejta ta' appoġġ addizzjonali dwar il-benefiċċji ta' Raxone ġiet minn programm ta' aċċess estiz li bih Raxone sar disponibbli għal pazjenti individwali li mhux qegħdin jipparteċipaw fi studju kliniku, u s'f'arriġ tar-rekords tal-każ, li inkluda dejta minn pazjenti b'LHON li ma rċevewx kura.

Analizijiet ta' din id-dejta kollha wrew mudell konsistenti li fih proporzjon ikbar ta' pazjenti kkurati b'Raxone kellhom titjib fil-viżjoni meta mqabbel ma' pazjenti li ma ġewx ikkurati jew li ġew ikkurati bi plaċebo.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Raxone?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Raxone (li jistgħu jaffettwaw aktar minn 1 minn kull 10) huma nażofaringite u sogħla; dijarea ħafifa sa moderata u uġiġħ fid-dahar huma komuni wkoll (jaffettwaw sa 1 minn kull 10).

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha b'Raxone, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex ġie approvat Raxone?

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iddeċieda li l-benefiċċji ta' Raxone huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jiġi approvat għall-użu fl-UE.

Il-Kumitat innota nuqqas ta' kuri għal prevenzjoni jew tregġiġħ lura tat-telf ta' viżjoni f'pazjenti b'LHON. Ir-riżultati tal-istudju ewlieni wrew titjib fil-viżjoni f'pazjenti kkurati b'Raxone, u din it-tendenza ta' effett ta' benefiċċju ġiet ikkonfermata b'dejta addizzjonali minn programm ta' aċċess estiz u s'f'arriġ tar-rekords tal-każ. Fir-rigward tas-sigurtà ta' Raxone, il-maġġoranza tal-effetti sekondarji li deheru bil-mediċina kienu ħfief jew moderati fl-intensità.

Raxone ġie awtorizzat taħt 'ċirkostanzi ta' eċċezzjoni'. Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta dwar Raxone minħabba r-rarità tal-marda. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-

Mediċini ser tanalizza kwalunkwe informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u dan is-sommarju ser jiġi aġġornat kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Raxone?

Billi Raxone ġie approvat f'ċirkostanzi eċċezzjonali, il-kumpanija li tqiegħed Raxone fis-suq ser twettaq studji addizzjonali fuq l-effetti fit-tul u s-sigurtà ta' Raxone, u ser tistabbilixxi u żżomm regjistru ta' pazjenti b'LHON ikkurati b'Raxone.

X'miżuri qegħdin jitteħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Raxone?

Ġie żviluppat pjan ta' ġestjoni tar-riskju biex jiġi żgurat li Raxone jintuża bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif ġiet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Raxone, inklużi l-prekawzjonijiet xierqa li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Aktar informazzjoni tinstab [fis-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju](#).

Informazzjoni oħra dwar Raxone

L-EPAR sħiħ u s-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju għal Raxone jinstabu fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Raxone, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Raxone jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).