



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Raxone

idebenón

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Raxone. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Raxone.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Raxone, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Raxone a na čo sa používa?

Raxone je liek, ktorý sa používa na liečbu poruchy zraku dospelých a dospievajúcich pacientov vo veku 12 rokov a starších s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou (LHON), zdedeným ochorením charakteristickým progresívnou stratou znaku. Liek Raxone obsahuje účinnú látku idebenón.

Keďže počet pacientov s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou je nízky, táto choroba sa považuje za zriedkavú, a liek Raxone bol 15. februára 2007 označený za liek na ojedinelé choroby.

Raxone je hybridný liek. Znamená to, že sa podobá na „referenčný liek“ obsahujúci tú istú účinnú látku, ale liek Raxone obsahuje idebenón v inej sile. Pre liek Raxone je referenčný liek Mnesis (tablety 45 mg).

Ako sa liek Raxone užíva?

Výdaj lieku Raxone je viazaný na lekársky predpis a liečba týmto liekom sa má začať a viesť pod dohľadom lekára so skúsenosťami s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou (LHON). Liek Raxone je k dispozícii vo forme 150 mg tabliet a odporúčaná dávka je dve tablety trikrát denne užívané spolu s jedlom.

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



Akým spôsobom liek Raxone účinkuje?

Účinná látka lieku Raxone, idebenón, je antioxidačné činidlo, ktoré pôsobí na mitochondrie (vnútrobunkové štruktúry, ktoré produkujú energiu potrebnú na funkcie bunky). Genetický materiál mitochondrií pacientov postihnutých ochorením LHON má mutácie (defekty). To znamená, že mitochondrie nepracujú správne, nevytvárajú energiu a produkujú toxické formy kyslíka (voľné radikály), ktoré poškodzujú nervy potrebné pre zrak. Predpokladá sa, že idebenón pomáha zlepšovať produkciu energie obnovou funkcie mitochondrií, a preto predchádza poškodeniu buniek a strate zraku, ako sa pozoruje pri ochorení LHON.

Aké prínosy lieku Raxone boli preukázané v štúdiách?

Liek Raxone sa skúmal v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 85 pacientov s ochorením LHON. V štúdii sa liek Raxone porovnával s placebom (zdanlivým liekom) v priebehu 24 týždňov. Hlavným meradlom účinnosti bolo zlepšenie zraku založené na počte písmen, ktoré boli pacienti schopní prečítať pri štandardnej očnej skúške s tabuľou s písmenami. Na konci štúdie boli pacienti liečení liekom schopní prečítať v priemere o 3 až 6 písmen viac ako pacienti užívajúci placebo. Okrem toho, niektorí pacienti, ktorí boli na začiatku štúdie klasifikovaní ako neschopní prečítať žiadne písmeno na tabuli, boli po liečbe pri očnej skúške schopní prečítať aspoň jeden riadok, a aj toto bolo považované za klinicky dôležité. Ďalej, 30 % pacientov liečených liekom Raxone (16 z 53) dosiahlo klinicky významnú nápravu zraku aspoň jedného oka v porovnaní s 10 % pacientov (3 z 29) v skupine užívajúcej placebo.

Ďalšie podporné údaje o výhodách lieku Raxone pochádzajú z programu rozšíreného prístupu, v ktorom bol liek Raxone dostupný jednotlivým pacientom, ktorí sa nezúčastnili na klinickej štúdii, a z prieskumu záznamov prípadov, ktorý zahŕňal údaje pacientov s ochorením LHON, ktorí neboli vôbec liečení.

Analýzy všetkých týchto údajov poukázali na konzistentný obraz, podľa ktorého sa zrak veľkej časti pacientov liečených liekom Raxone zlepšil v porovnaní s pacientmi, ktorí sa neliečili alebo užívali placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Raxone?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Raxone (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú nazofaryngitída a kašeľ. Časté vedľajšie účinky (postihujú 1 osobu z 10) sú aj mierna až stredne závažná hnačka a bolesť chrbta.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri užívaní lieku Raxone a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Raxone povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Raxone sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Výbor uviedol nedostatok liečebných postupov na prevenciu alebo nápravu straty zraku pacientov s ochorením LHON. Z výsledkov hlavnej štúdie vyplýva zlepšenie zraku pacientov liečených liekom Raxone a tento trend priaznivého účinku bol potvrdený ďalšími údajmi z programu rozšíreného prístupu a prieskumu záznamu prípadov. Pokiaľ ide o bezpečnosti lieku Raxone, intenzita väčšiny vedľajších účinkov pozorovaných pri tomto lieku bola mierna až stredne závažná.

Liek Raxone bol povolený za mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Raxone. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Raxone dosiaľ neboli predložené?

Pretože liek Raxone bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Raxone uvádza na trh, vykoná ďalšie štúdie zamerané na dlhodobé účinky a bezpečnosť lieku Raxone a založí a bude udržiavať register pacientov s ochorením LHON liečených liekom Raxone.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Raxone?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Raxone bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Raxone vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Viac informácií sa nachádza v [súhrne plánu riadenia rizík](#).

Ďalšie informácie o lieku Raxone

Úplné znenie správy EPAR o lieku Raxone a súhrn plánu riadenia rizík sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Raxone, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Raxone sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).