



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Raxone

idebenon

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Raxone. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Raxone naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Raxone in za kaj se uporablja?

Raxone je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje poslabšanja vida pri odraslih in mladostnikih, starih 12 let in več, z Lebrovo kongenitalno optično nevropatijo (LKON), dedno boleznijo, za katero je značilna napredujoča izguba vida. Zdravilo Raxone vsebuje zdravilno učinkovino idebenon.

Ker je bolnikov z Lebrovo kongenitalno optično nevropatijo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Raxone 15. februarja 2007 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Raxone je „hibridno zdravilo“. To pomeni, da je podobno referenčnemu zdravilu in vsebuje enako zdravilno učinkovino, vendar jo zdravilo Raxone vsebuje v drugačni jakosti. Referenčno zdravilo za zdravilo Raxone je zdravilo Mnesis (45 mg tablete).

Kako se zdravilo Raxone uporablja?

Izdaja zdravila Raxone je le na recept, zdravljenje pa mora začeti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z LKON. Zdravilo Raxone je na voljo v obliki 150-miligramskih tablet, priporočeni odmerki pa je dve tableti trikrat na dan, skupaj s hrano.



Kako zdravilo Raxone deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Raxone, idebenon, je antioksidant, ki deluje na mitohondrije (strukture znotraj celic, ki ustvarjajo energijo, potrebno za delovanje celic). Bolniki z LKON imajo mutacije (okvare) v genskem materialu mitohondrijev. To pomeni, da mitohondriji niso zmožni pravilno ustvarjati energije, zato tvorijo strupene oblike kisika (proste radikale), ki poškodujejo živčne celice v očesu, potrebne za vid. Menijo, da idebenon pomaga izboljšati tvorbo energije, tako da ponovno vzpostavi delovanje mitohondrijev, kar preprečuje celično poškodbo in izgubo vida, povezano z LKON.

Kakšne koristi je zdravilo Raxone izkazalo v študijah?

Zdravilo Raxone so raziskali v eni glavni študiji, ki je vključila 85 bolnikov z LKON, v kateri so ga 24 tednov primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bilo izboljšanje vida, ki je večinoma temeljilo na številu črk, ki so jih lahko bolniki prebrali s standardnega kartona za preverjanje vida. Ob koncu študije so bolniki, zdravljeni z zdravilom Raxone, lahko prebrali povprečno 3 do 6 črk več kot bolniki, ki so prejeli placebo. Poleg tega so lahko bolniki, ki so bili na začetku študije razvrščeni kot „zunaj kartona“ (niso bili sposobni prebrati nobenih črk s kartona), prebrali vsaj eno vrstico med preverjanjem vida po zdravljenju, kar je bilo klinično pomembno. Prav tako je 30 % bolnikov, zdravljenih z zdravilom Raxone (16 od 53), doseglo klinično pomembno izboljšanje vida v vsaj enem očesu, pri bolnikih v skupini s placebom pa samo 10 % bolnikov (3 od 29).

Dodatni podporni podatki o koristih zdravila Raxone izhajajo iz programa razširjenega dostopa, v katerem je bilo zdravilo Raxone na voljo posameznim bolnikom, ki niso sodelovali v klinični študiji, in raziskave primerov v evidenci, ki je vključila podatke bolnikov z LKON, ki niso prejeli nobenega zdravljenja.

Analize vseh teh podatkov so pokazale dosleden vzorec, pri katerem je na splošno izboljšanje vida doseglo več bolnikov, zdravljenih z zdravilom Raxone, kot nezdravljenih bolnikov ali bolnikov, ki so prejeli placebo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Raxone?

Najpogostejša neželena učinka zdravila Raxone (ki lahko prizadeneta več kot 1 osebo od 10) sta nazofaringitis in kašelj, pogosta (ki lahko prizadeneta največ 1 osebo od 10) pa sta tudi blaga do zmerna driska in bolečina v hrbtu.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Raxone glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Raxone odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Raxone večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU.

Odbor je izpostavil pomanjkanje oblik zdravljenja za preprečevanje ali zaustavljanje izgube vida pri bolnikih z LKON. Rezultati glavne študije so pokazali izboljšanje vida pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Raxone. Ta koristen učinek so potrdili tudi z dodatnimi podatki iz programa z razširjenim dostopom in raziskave primerov iz evidence. Z varnostnega vidika je bila resnost večine neželenih učinkov zdravila Raxone blaga ali zmerna.

Zdravilo Raxone je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. Do tega je prišlo zato, ker zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh informacij o njem. Evropska agencija za zdravila

bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila povzetek glavnih značilnosti zdravila, če bo potrebno.

Katere informacije o zdravilu Raxone še pričakujemo?

Ker je zdravilo Raxone pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo družba, ki ga trži, zagotovila izvedbo dodatnih študij o dolgoročnih učinkih in varnosti zdravila Raxone ter vzpostavila in vzdrževala register bolnikov z LKON, zdravljenih z zdravilom Raxone.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Raxone?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Raxone je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila Raxone in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Dodatne informacije so na voljo v [povzetku načrta obvladovanja tveganj](#).

Druge informacije o zdravilu Raxone

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) in povzetek načrta obvladovanja tveganj za zdravilo Raxone sta na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Raxone preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Raxone je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).