



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 април 2013 г.
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Raxone (idebenone)

На 21 март 2013 г. Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Raxone, показан за лечение на наследствена оптична невропатия на Лебер (LHON).

Какво представлява Raxone?

Raxone е лекарство, което съдържа активното вещество идебенон (*idebenone*). Трябвало е да се предлага под формата на таблетки от 150 mg.

За какво се очаква да се използва Raxone?

Очаква се Raxone да се използва за лечение на LHON – наследствено заболяване, което се характеризира с прогресивна загуба на зрението.

Raxone е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 15 февруари 2007 г. за лечение на LHON.

Как се очаква да действа Raxone?

Активното вещество в Raxone, идебенон, действа върху структури в клетките, наречени митохондрии, които произвеждат енергията, необходима на клетките да функционират. Пациентите, страдащи от LHON, имат мутации (дефекти) в генетичния материал в митохондриите. Това означава, че митохондриите не функционират нормално, за да генерират енергия, и произвеждат токсични форми на кислорода (свободни радикали), които увреждат клетките на очния нерв, необходими за зрението. Начинът на действие на идебенон при LHON не е напълно изяснен, но се счита, че намалява образуването на свободните радикали и помага за подобряване на производството на енергия, което предотвратява клетъчните увреждания и загубата на зрение, наблюдавани при LHON.



Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Преди провеждане на проучвания при хора ефектите на Raxone са изследвани първо върху експериментални модели.

Фирмата представя резултатите от едно основно проучване с Raxone, обхващащо 85 пациенти с LHON, чиито симптоми са се появили през предходните пет години. В проучването пациентите получават Raxone или плацебо (сляпо лечение) в продължение на шест месеца. Основната мярка за ефективност е промяната в зрението след шест месеца на лечение, измерена чрез стандартен тест на зрението с буквена таблица.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Оценката е приключила и CHMP е дал отрицателно становище. Фирмата е поискала преразглеждане на отрицателното становище, но е оттеглила заявлението преди началото на това преразглеждане.

Какви са препоръките на CHMP към момента?

Въз основа на прегледа на данните, към момента на оттеглянето становището на CHMP е отрицателно, като препоръчва да бъде отказано разрешение за употреба на Raxone за лечение на наследствена оптична невропатия на Лебер (LHON).

Към момента на издаване на отрицателното становище CHMP изразява опасение, че при пациентите с LHON, чиито симптоми са се появили през предходните пет години, приемът на Raxone в продължение на шест месеца не води до значително подобрене на зрението в сравнение с плацебо (пациентите, приемащи Raxone, са в състояние да разграничат три букви повече от буквената таблица в сравнение с пациентите, приемащи плацебо). CHMP не счита тази полза за значителна.

Впоследствие, въз основа на същото проучване, фирмата предлага да се ограничи употребата на Raxone при пациенти с LHON, чиито симптоми са се появили в предходната година. Тези пациенти показват подобрене от 17 букви от буквената таблица в сравнение с плацебо. CHMP обаче заключава, че новата подгрупа пациенти, предложени за лечение, не е добре представена в проучването (28 пациенти) и достоверността на резултатите е под въпрос. Като се има предвид малкият размер на тази подгрупа, CHMP счита, че не може да се изключи спонтанно подобрене.

В допълнение CHMP счита, че данните в подкрепа на начина на действие на идебенон при LHON не са достатъчни.

Поради това към момента на оттеглянето становището на CHMP е, че ползите от Raxone не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В писмото, с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочват стратегически причини.

Писмото относно оттеглянето е налично [ТУК](#).

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата уведомява СНМР, че няма текущи клинични изпитвания. Пациентите, участващи в програми с милосърдна цел, могат да продължат да използват Рахоне.

Ако участвате в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация за Вашето лечение, свържете се с лекаря, който Ви го е предписал.