



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. dubna 2013
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Raxone (idebenon)

Dne 21. března 2013 společnost Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Raxone určeného k léčbě Leberovy hereditární optické neuropatie (LHON).

Co je Raxone?

Raxone je léčivý přípravek obsahující léčivou látku idebenon. K dispozici byl ve formě 150mg tablet.

K čemu měl být přípravek Raxone používán?

Přípravek Raxone měl být používán k léčbě Leberovy hereditární optické neuropatie, což je dědičné onemocnění charakterizované progresivní ztrátou zraku.

Přípravek Raxone byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 15. února 2007. Přípravek měl být určen k léčbě Leberovy hereditární optické neuropatie.

Jak by měl přípravek Raxone působit?

Léčivá látka v přípravku Raxone, idebenon, působí na struktury uvnitř buňky známé jako mitochondrie, které získávají energii nutnou k fungování buněk. Pacienti postižení Leberovou hereditární optickou neuropatií mají mutace (defekty) v genetickém materiálu mitochondrií. To znamená, že mitochondrie nezískávají správně energii a produkují toxické formy kyslíku (volné radikály), které poškozují nervové buňky oka nutné k vidění. Způsob, jakým idebenon působí u Leberovy hereditární optické neuropatie, není plně znám, ale má se za to, že snižuje tvorbu volných radikálů a pomáhá zlepšit získávání energie, čímž předchází buněčnému poškození a ztrátě zraku pozorovaným u tohoto onemocnění.



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Raxone byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech.

Společnost předložila výsledky z jedné hlavní studie přípravku Raxone zahrnující 85 pacientů s Leberovou hereditární optickou neuropatií, u nichž se symptomy začaly objevovat v posledních pěti letech. V této studii dostávali pacienti po dobu šesti měsíců přípravek Raxone nebo placebo (neúčinný přípravek). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna zraku po šesti měsících léčby, což bylo měřeno pomocí standardního očního testu na tabuli s písmeny.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Posuzování bylo ukončeno a výbor CHMP vydal záporné stanovisko. Společnost požádala o přezkoumání záporného stanoviska, přezkoumání však v době stažení žádosti ještě nebylo zahájeno.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů vydal výbor CHMP v době stažení žádosti záporné stanovisko, ve kterém doporučil zamítnout registraci přípravku Raxone k léčbě Leberovy hereditární optické neuropatie.

V době vydání záporného stanoviska měl výbor CHMP obavu, že u pacientů s Leberovou hereditární optickou neuropatií, u nichž se symptomy začaly objevovat v posledních pěti letech, nevedlo užívání přípravku Raxone po dobu šesti měsíců k významnému zlepšení zraku oproti placebo (pacienti užívající přípravek Raxone byli na tabuli s písmeny schopni rozlišit oproti pacientům užívajícím placebo o tři písmena více). Výbor CHMP nepovažoval tento přínos za významný.

Na základě téže studie společnost později navrhla omezit použití přípravku Raxone na pacienty, u nichž se symptomy začaly objevovat v posledním roce. U těchto pacientů bylo na tabuli s písmeny prokázáno zlepšení oproti placebo o 17 písmen. Výbor CHMP nicméně dospěl k závěru, že nová podskupina pacientů, pro něž je léčba navrhována, nebyla v této studii dobře zastoupena (28 pacientů) a že spolehlivost výsledků zůstává otázkou. Vzhledem k malé velikosti této podskupiny je výbor CHMP toho názoru, že nelze vyloučit spontánní zlepšení.

Výbor CHMP také vzal v úvahu, že údaje podporující způsob působení idebenonu u Leberovy hereditární optické neuropatie nejsou dostatečné.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že přínosy přípravku Raxone nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

V dopise, v němž uvědomuje agenturu o svém rozhodnutí stáhnout žádost, společnost uvedla, že žádost je stahována ze strategických důvodů.

Dopis, v němž společnost uvědomuje agenturu o svém rozhodnutí stáhnout žádost, je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Raxone podáván v rámci léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že v době stažení žádosti žádné klinické studie s přípravkem Raxone neprobíhají. Pacienti, u nichž je přípravek Raxone podáván v rámci léčby z humánních důvodů, mohou i nadále přípravek Raxone používat.

Pokud jste zařazeni do programu, v němž je přípravek Raxone podáván v rámci léčby z humánních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, kontaktujte lékaře, který vám přípravek podává.