



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Den 25. april 2013
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Raxone (idebenon)

Den 21. marts 2013 meddelte Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH officielt til Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning tilbage om markedsføringstilladelse for Raxone til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON).

Hvad er Raxone?

Raxone er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof idebenon. Det var hensigten, at det skulle leveres som 150 mg tabletter.

Hvad forventedes Raxone anvendt til?

Raxone forventedes anvendt til behandling af LHON, en arvelig sygdom, der medfører gradvist synstab.

Raxone blev den 15. februar 2007 udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til behandling af LHON.

Hvordan forventes Raxone at virke?

Det aktive stof i Raxone, idebenon, virker på mitokondrierne, som er de indvendige strukturer i cellerne, der producerer den energi, cellerne behøver for at fungere. Patienter med LHON har mutationer (defekter) i mitokondriernes genetiske materiale. Derfor fungerer mitokondriernes energiproduktion ikke som den skal, og den producerer giftige former for ilt (frie radikaler), som beskadiger de nerveceller i øjnene, der er nødvendige for synet. Det vides ikke fuldstændig, hvordan idebenon virker ved LHON, men det menes at nedsætte dannelsen af frie radikaler og bidrage til at forbedre energiproduktionen, så cellebeskadigelsen og synstabet ved LHON mindskes.



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virkningerne af Raxone blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker.

Virksomheden fremlagde resultaterne af én hovedundersøgelse med Raxone, hvori der deltog 85 patienter med LHON, hvis symptomer var begyndt inden for de foregående fem år. I undersøgelsen fik patienterne enten Raxone eller placebo (virkningsløs behandling) i seks måneder. Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på ændringen i synet efter seks måneders behandling, målt ved hjælp af en almindelig synstavle.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Vurderingen var afsluttet, og CHMP havde afgivet en negativ udtalelse. Virksomheden havde anmodet om en revurdering af den negative udtalelse, men denne revurdering var endnu ikke afsluttet, da virksomheden trak sin ansøgning tilbage.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

Efter at have gennemgået dataene havde CHMP afgivet en negativ udtalelse og anbefalet afslag på udstedelse af markedsføringstilladelse for Raxone til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON).

På tidspunktet for den negative udtalelse var der i CHMP betænkelighed ved, at patienter med LHON, hvis sygdom var begyndt i de foregående fem år, og som havde taget Raxone i seks måneder, ikke havde fået væsentligt bedre syn sammenlignet med placebobehandling (de patienter, der fik Raxone, kunne læse tre bogstaver mere på synstavlen end de, der fik placebo). CHMP anså ikke denne fordel for at være væsentlig.

På grundlag af den samme undersøgelse foreslog virksomheden senere at begrænse anvendelsen af Raxone til LHON-patienter, hvis symptomer var begyndt inden for det foregående år. Disse patienter viste en bedring på 17 bogstaver på synstavlen i forhold til placebobehandling. CHMP konkluderede imidlertid, at den nye undergruppe af patienter, der blev foreslået behandlet, ikke var velrepræsenteret i undersøgelsen (28 patienter), og at pålideligheden af resultaterne er tvivlsom. På baggrund af den lille størrelse af denne undergruppe fandt CHMP, at det ikke kunne udelukkes, at bedringen var spontan.

Desuden fandt CHMP, at dataene til underbygning af virkningen af idebenon ved LHON ikke er tilstrækkelige.

På tidspunktet for tilbagetrækningen var CHMP derfor af den opfattelse, at fordelene ved Raxone ikke var tilfredsstillende påvist og ikke er større end risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at tilbagetrækningen skyldtes strategiske årsager.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Raxone eller i programmer for anvendelse af Raxone med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til CHMP oplyst, at der ikke pågår kliniske undersøgelser med Raxone. Patienter i programmer med særlig udleveringstilladelse kan fortsætte med at bruge Raxone.

Hvis du deltager i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for mere information om din behandling, bedes du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.