



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 de abril de 2013
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Preguntas y respuestas

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Raxone (idebenona)

El 21 de marzo de 2013, Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de autorización de comercialización de Raxone para el tratamiento de la neuropatía óptica hereditaria de Leber (LHON).

¿Qué es Raxone?

Raxone es un medicamento cuyo principio activo es la idebenona. Iba a presentarse como comprimidos de 150 mg.

¿A qué uso estaba destinado Raxone?

Raxone iba a utilizarse para el tratamiento de la LHON, que es una enfermedad hereditaria caracterizada por una pérdida progresiva de la visión.

Raxone fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 15 de febrero de 2007 para el tratamiento de la LHON.

¿Cómo estaba previsto que actuase Raxone?

El principio activo de Raxone, la idebenona, actúa sobre unas estructuras que se localizan en el interior de las células denominadas mitocondrias, que producen la energía necesaria para el funcionamiento de las células. Los pacientes afectados por LHON presentan mutaciones (defectos) en el material genético de las mitocondrias. Esto significa que las mitocondrias no generan energía de un modo adecuado y producen formas tóxicas de oxígeno (radicales libres) que dañan las células nerviosas del ojo responsables de la visión. El mecanismo de acción de la idebenona en la LHON no se conoce del todo, pero se cree que reduce la formación de radicales libres y que ayuda a mejorar la producción de energía, previniendo así los daños celulares y la consiguiente pérdida de visión típica de la LHON.



¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

Los efectos de Raxone se probaron en modelos experimentales antes de estudiarlo en humanos.

La empresa presentó los resultados de un estudio principal con Raxone en el que participaron 85 pacientes con LHON cuyos síntomas habían comenzado en los cinco años anteriores. En este estudio, los pacientes recibieron Raxone o placebo (un tratamiento simulado) durante seis meses. La medida principal de eficacia fue el cambio en la visión transcurridos seis meses de tratamiento, medido con un examen ocular normal con una tabla de letras.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La evaluación había concluido y el CHMP había emitido un dictamen negativo. La empresa había solicitado la revisión del dictamen negativo, pero ésta no había comenzado aún cuando la empresa retiró la solicitud.

¿Qué recomendaba el CHMP en ese momento?

Estudiada la documentación, en el momento de la retirada el CHMP había emitido un dictamen negativo y no recomendaba que se autorizara la comercialización de Raxone para el tratamiento de la neuropatía óptica hereditaria de Leber (LHON).

En el momento de emitir el dictamen negativo, el CHMP tenía reservas porque en pacientes con LHON cuyos síntomas se habían iniciado en los cinco años anteriores, la administración de Raxone durante seis meses no había producido una mejora significativa de la visión con respecto al placebo (los pacientes en tratamiento con Raxone podían distinguir en la tabla tres letras más que los pacientes que habían recibido placebo). El CHMP no lo consideró un beneficio significativo.

Según el mismo estudio, la empresa propuso más adelante restringir el uso de Raxone a pacientes con LHON cuyos síntomas hubieran comenzado el año anterior. Estos pacientes mostraron una mejora de 17 letras con respecto a los que tomaron placebo. No obstante, el CHMP concluyó que el nuevo subgrupo de pacientes propuesto para el tratamiento no estaba bien representado en el estudio (28 pacientes) y la fiabilidad de los resultados es cuestionable. Dado el pequeño tamaño de este subgrupo, el CHMP consideró que no se podía descartar que se hubiera producido una mejora espontánea.

Además, el CHMP consideró que los datos que avalaban el modo de acción de la idebenona en la LHON no eran suficientes.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, el CHMP estimaba que los beneficios de Raxone no eran mayores que sus riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En su escrito de retirada de la solicitud remitido por la empresa a la Agencia, la empresa indicó que retiraba la solicitud por motivos estratégicos.

El escrito de retirada de la solicitud se puede consultar [aquí](#).

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos/programas de uso compasivo?

La empresa ha informado al CHMP de que no hay ningún ensayo clínico en marcha. Los pacientes que participan en programas de uso compasivo pueden continuar usando Raxone.

Si participa usted en un programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.