



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Teabedokument

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave Raxone (idebenoon)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH teatas 21. märtsil 2013 ametlikult inimravimite komiteele oma soovist võtta tagasi ravimi Raxone müügiloa taotlus. Ravim oli näidustatud Leberi päriliku optilise neuropaatia (LHON) raviks.

Mis on Raxone?

Raxone on ravim, mis sisaldab toimeainena idebenooni. Seda kavatseti turustada 150 mg tablettidena.

Milleks kavatseti Raxonet kasutada?

Raxonet kavatseti kasutada Leberi päriliku optilise neuropaatia (LHON) raviks. LHON on pärilik haigus, millele on iseloomulik nägemise progresseeruv halvenemine.

Raxone nimetati 15. veebruaril 2007 LHONi ravi harvikravimiks.

Milline on Raxone eeldatav toime?

Raxone toimeaine idebenoon toimib rakusisestele struktuuridele mitokondritele, mis toodavad rakutegevuse jaoks vajalikku energiat. LHONiga patsientidel on mitokondrite geenimaterjal defektne: nendel patsientidel ei toimi mitokondrid energia tootmisel normaalselt ja tekitavad toksilisi hapnikuvorme (vabu radikaale), mis kahjustavad silma närvirakke, mida on vaja nägemiseks. Idebenooni toimemehhanism LHONi korral ei ole päris selge, aga arvatakse, et see vähendab vabade radikaalide teket ja soodustab energiatootmist, mis takistab LHONi korral esinevat rakkude kahjustamist ning nägemise halvenemist.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Enne inimuuringuid kontrolliti Raxone toimet muude katsetega.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7523 7129

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Ettevõtte esitas andmed Raxonega korraldatud ühe põhiuuringu kohta, milles osales 85 LHONiga patsienti, kelle sümptomid olid ilmnenud viimase 5 aasta vältel. Uuringus said patsiendid 6 kuud Raxonet või platseebot (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli nägemise muutus pärast 6-kuulist ravi, mida hinnati standardse nägemiskontrolli tabeli abil.

Mis järgus oli müügiloo taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Hindamine oli lõppenud ja inimravimite komitee oli andnud negatiivse arvamuse. Ettevõtte oli taotlenud negatiivse arvamuse taasläbivaatamist, aga võttis taotluse enne negatiivse arvamuse taasläbivaatamist tagasi.

Milline oli sel ajal inimravimite komitee soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile, oli komitee andnud taotluse tagasivõtmise ajal negatiivse arvamuse ega soovitanud anda ravimile Raxone Leberi päriliku optilise neuropaatia (LHON) raviks müügiluba.

Negatiivse arvamuse andmise ajal tekitas inimravimite komitees ettevaatlikkust asjaolu, et LHONiga patsientidel, kelle sümptomid olid ilmnenud viimase 5 aasta vältel, ei kaasnunud Raxone 6-kuulise kasutamisega nägemise olulist paranemist võrreldes platseeboga (Raxonet võtnud patsiendid suutsid eristada nägemiskontrolli tabelis 3 tähte rohkem kui platseebot võtnud patsiendid). Inimravimite komitee hinnangul ei olnud see saavutatud kasulikkus oluline.

Sama uuringu alusel tegi ettevõtte hiljem ettepaneku piirata Raxone kasutamine patsientidega, kelle sümptomid olid ilmnenud viimase 1 aasta vältel. Need patsiendid suutsid eristada nägemiskontrolli tabelis 17 tähte rohkem kui platseebot võtnud patsiendid. Inimravimite komitee järeldas siiski, et see raviks välja pakutud patsientide uus alamrühm ei olnud uuringus piisavalt esindatud (28 patsienti), mistõttu selle tulemuse usaldusväärsus on küsitav. Arvestades selle patsientide alamrühma väiksust, leidis inimravimite komitee, et ei saa välistada nägemise spontaanset paranemist.

Peale selle järeldas inimravimite komitee, et idebenooni toimemehhanismi andmed on ebapiisavad.

Seetõttu oli inimravimite komitee müügiloo taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et ravimi Raxone kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte kirjas, milles ta teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, teatab ettevõtte, et võtab taotluse tagasi strateegilistel põhjustel.

Taotluse tagasivõtmise kiri on [siin](#).

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas inimravimite komiteele, et Raxonega ei toimu praegu ühtki kliinilist uuringut. Eriloaga kasutamise programmides osalevad patsiendid tohivad Raxone kasutamist jätkata.

Kui osalete eriloaga kasutamise programmis ja vajate oma ravi kohta lisateavet, pöörduge palun arsti poole, kes teile ravi määrab.