



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Raxone (idebenoni) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Santhera Pharmaceuticals (Saksa) GmbH ilmoitti 21. maaliskuuta 2013 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Leberin perinnöllisen näköhermojen neuropatian (LHON) hoitoon tarkoitettua Raxone-lääkevalmistettä koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Raxone on?

Raxone on lääke, jonka vaikuttava aine on idebenoni. Sitä oli määrä olla saatavana 150 mg:n tabletteina.

Mihin valmistetta Raxone oli tarkoitus käyttää?

Raxonea oli tarkoitus käyttää Leberin perinnöllisen näköhermojen neuropatian (LHON) hoitoon. Tauti aiheuttaa etenevää näön menetystä.

Raxone määritettiin Leberin perinnöllisen näköhermojen neuropatian hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 15. helmikuuta 2007.

Miten valmisteen Raxone odotettiin vaikuttavan?

Raxonen vaikuttava aine idebenoni vaikuttaa solujen sisällä oleviin rakenteisiin, mitokondrioihin. Mitokondriot tuottavat solujen toimintaan tarvittavaa energiaa. Leberin perinnöllistä näköhermojen neuropatiaa sairastavilla on mitokondrioiden perintöaineuksen mutaatioita (vaurioita). Siksi mitokondrioiden kyky tuottaa energiaa heikentyy, ja ne tuottavat happea myrkyllisessä muodossa (vapaina radikaaleina). Tällöin näkemiseen tarvittavat silmän hermosolut vaurioituvat. Idebenonin vaikutusta Leberin perinnölliseen näköhermojen neuropatiaan ei ymmärretä täysin, mutta sen arvellaan vähentävän vapaiden radikaalien muodostumista ja edistävän energian tuottamista, mikä estää tautiin liittyviä soluvaurioita ja näön menetystä.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Raxonen vaikutuksia on testattu koemalleilla ennen sen tutkimista ihmisillä.

Yhtiö esitti tulokset yhdestä Raxonen päätutkimuksesta, johon osallistui 85 Leberin perinnöllistä näköhermojen neuropatiaa sairastavaa potilasta, joiden oireet olivat alkaneet enintään viisi vuotta aiemmin. Tässä tutkimuksessa potilaille annettiin Raxonea tai lumelääkettä (näennäislääkettä) kuuden kuukauden ajan. Tehon ensisijainen mittari oli näkökyvyn muutos kuuden kuukauden hoidon jälkeen. Näkökykyä mitattiin normaalissa näöntarkastuksessa kirjaintaululla.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Arviointi oli päättynyt ja lääkevalmistekomitea oli antanut kielteisen lausunnon. Yhtiö oli pyytänyt kielteisen lausunnon uudelleenarviointia, mutta peruutti hakemuksen ennen kuin uudelleenarviointi oli alkanut.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea oli antanut saamiensa tietojen tarkastelun perusteella kielteisen lausunnon, jossa se suositteli myyntiluvan epäämistä Raxonelta Leberin perinnöllisen näköhermojen neuropatian hoitoa varten.

Lääkevalmistekomitea katsoi kielteisen lausunnon antamisen ajankohtana, että kuuden kuukauden Raxone-hoito ei parantanut näköä merkittävästi enemmän kuin lumelääke niillä Leberin perinnöllistä näköhermojen neuropatiaa sairastavilla, joiden oireet olivat alkaneet enintään viisi vuotta aiemmin (Raxonea saavat potilaat erottivat kirjaintaulusta kolme kirjainta enemmän kuin lumelääkettä saavat). Lääkevalmistekomitea ei pitänyt tätä hyötyä merkittävänä.

Yhtiö ehdotti myöhemmin saman tutkimuksen perusteella, että Raxonen käyttö rajattaisiin potilaisiin, joiden oireet olivat alkaneet vuotta aiemmin. Näiden potilaiden näkökyky parani näkötaulun 17 kirjaimella lumelääkkeeseen verrattuna. Lääkevalmistekomitea päätti kuitenkin, että tämä uusi ehdotettu potilaiden alaryhmä ei ollut tarpeeksi hyvin edustettuna tutkimuksessa (28 potilasta), joten tulosten luotettavuus on kyseenalainen. Koska alaryhmä oli niin pieni, spontaanin paranemisen mahdollisuutta ei voitu lääkevalmistekomitean mielestä sulkea pois.

Lisäksi lääkevalmistekomitea katsoi, että idebenonin vaikutustavasta Leberin perinnölliseen näköhermojen neuropatiaan ei ole riittävästi tietoa.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Raxonesta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Virastolle lähettämässään hakemuksen peruuttamista koskevassa kirjeessä yhtiö ilmoitti päättäneensä peruuttaa hakemuksen strategisista syistä.

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on luettavissa [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että kliinisiä tutkimuksia ei ole meneillään. Erityiskäyttöohjelmissa mukana olevat potilaat voivat jatkaa Raxonen käyttöä.

Jos olet mukana erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.