



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kérdések és válaszok

A Raxone-ra (idebenon) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2013. március 21-én a Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a Leber-féle hereditár (örökletes) optikus neuropátia (LHON) kezelésére szánt Raxone-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Raxone?

A Raxone egy olyan gyógyszer, melynek hatóanyaga az idebenon. A készítmény 150 mg-os tablettaként került volna forgalomba.

Milyen alkalmazásra szánták a Raxone-t?

A Raxone-t az LHON kezelésére szánták, amely fokozatos látásvesztéssel járó örökletes betegség.

A Raxone 2007. február 15-én az LHON kezelése tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” minősítést kapott.

Milyen hatásmechanizmust várnak a Raxone-tól?

A Raxone hatóanyaga, az idebenon, a sejteken belül található képletekre, az ún. mitokondriumokra fejti ki hatását, amelyek a sejtműködéshez szükséges energiát termelik. Az LHON által érintett betegeknél a mitokondriumok genetikai anyagában mutációk (hibák) lépnek fel. Ez azt jelenti, hogy a mitokondriumok nem működnek megfelelően az energia termelésében és mérgező oxigén formákat (szabad gyököket) képeznek, amelyek károsítják a szemben a látáshoz szükséges idegsejteket. Az idebenon LHON kezelésében kifejtett hatásának mechanizmusa nem teljesen ismert, de vélhetően csökkenti a szabad gyökök képződését és elősegíti az energiatermelést, ezáltal meggátolva a sejtkárosodást és a látásvesztés LHON esetében.

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



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A Raxone hatásait először kísérleti modellekben tesztelték, mielőtt embereken kipróbálták volna.

A vállalat benyújtotta a Raxone-nal kapcsolatban elvégzett fő vizsgálat eredményeit; ebben a vizsgálatban 85 LHON-ban szenvedő beteg vett részt, akiknek tünetei a megelőző öt évben kezdődtek. A vizsgálatban a betegek hat hónapon át kaptak Raxone-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést). A hatásosság mérése legfőként a hathónapos kezelés után, standard betűtáblás szemvizsgálattal meghatározott látásélesség-változáson alapult.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

Az értékelés befejeződött és a CHMP negatív véleményt adott. A vállalat a negatív vélemény felülvizsgálatát kérte, de ezt a kérelmét még a felülvizsgálat megkezdése előtt visszavonta.

Mit tartalmazott a CPMH ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján a CHMP negatív véleményt adott, és a Raxone forgalomba hozatali engedélykérelmének elutasítását javasolta a Leber-féle hereditár (örökletes) optikus neuropátia (LHON) kezelésében.

A negatív vélemény időpontjában a CHMP aggályát fejezte ki a tekintetben, hogy azoknál az LHON-ban szenvedő betegeknél, akiknek a tünetei az előző öt évben kezdődtek a Raxone hat hónapos alkalmazása nem vezetett szignifikáns látásjavuláshoz a placebohoz képest (a Raxone-t szedő betegek hárommal több betűt tudtak kiolvasni a betűtáblán, a placebo-t kapókhöz képest). A CHMP megítélése szerint ez a kedvező hatás nem szignifikáns.

Ugyanezen vizsgálat alapján a vállalat később azt javasolta, hogy a Raxone alkalmazását azon LHON-ban szenvedő betegekre korlátozzák, akiknek tünete az előző évben kezdődtek. Ezek a betegek 17 betűs javulást mutattak a betűtáblán a placebohoz képest. A CHMP azonban arra a következtetésre jutott, hogy a kezelésre javasolt új beteg alcsoport a vizsgálatban nem volt megfelelően reprezentálva (28 beteg) és az eredmények megbízhatósága megkérdőjelezhető. Az alcsoport kis mintamérete miatt a CHMP úgy vélte, hogy a spontán javulás nem zárható ki.

Emellett a CHMP azt állapította meg, hogy az idebenon LHON indikációban történő alkalmazásának hatásmechanizmusát alátámasztó adatok nem elégségesek.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Raxone előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

A vállalat levélben értesítette az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról, és azt jelezte, hogy a kérelem visszavonása stratégiai okokból történt.

A visszavonásról értesítő levél [itt](#) érhető el.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban vagy az engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat arról értesítette a CHMP-t, hogy nincsenek folyamatban lévő klinikai vizsgálatok. Az engedélyezés előtti alkalmazási programokban résztvevő betegek továbbra is alkalmazhatják a Raxone-t.

Ha Ön ilyen engedélyezés előtti alkalmazási programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!