



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2013 m. balandžio 25 d.
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Raxone (idebenono) rinkodaros leidimą atsiėmimas

2013 m. kovo 21 d. bendrovė „Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti Raxone, skirtą paveldimos Leberio regos nervo atrofijos (PLRNA) gydymui, rinkodaros leidimą.

Kas yra Raxone?

Raxone – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos idebenono. Jį buvo numatyta tiekti 150 mg tabletėmis.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Raxone?

Raxone buvo numatyta gydyti PLRNA – paveldimą ligą, kuria sergant laipsniškai netenkama regėjimo.

2007 m. vasario 15 d. Raxone priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai, taip pat buvo patvirtintas šio vaisto vartojimas PLRNA gydyti.

Kokio tikimasi Raxone veikimo?

Veikioji Raxone medžiaga idebenonas veikia ląstelių viduje esančius darinius, vadinamus mitochondrijomis, kurios gamina ląstelių funkcionavimui būtiną energiją. PLRNA sergančių pacientų mitochondrijų genetinėje medžiagoje yra mutacijų (defektų). Tai reiškia, kad gamindamos energiją mitochondrijos veikia netinkamai ir gamina toksiškų formų deguonį (laisvuosius radikalus), kuris pažeidžia akyje esančias regėjimui būtinas nervines ląsteles. Kaip tiksliai idebenonas veikia sergant PLRNA, nežinoma, bet manoma, kad jis slopina laisvųjų radikalų susidarymą ir padeda gerinti energijos gamybą, taip užkirsdamas kelią ląstelių pažeidimui ir apakimui, kuris pasireiškia sergant PLRNA.



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Pirmiausia Raxone poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Bendrovė pateikė vieno pagrindinio Raxone tyrimo rezultatus; jame dalyvavo 85 PLRNA sergantys pacientai, kuriems šios ligos simptomai pirmąkart pasireiškė prieš ne daugiau kaip penkerius metus. Atliekant šį tyrimą, pacientai šešis mėnesius vartojo Raxone arba placebo (netikrą vaistą). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo regėjimo pokytis per šešis gydymo mėnesius, kuris vertintas atliekant standartinį regėjimo patikrinimą naudojant raidžių lentelę.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Baigęs vertinimą, CHMP pateikė neigiamą nuomonę. Bendrovė paprašė pakartotinai išnagrinėti priimtą neigiamą nuomonę, tačiau atsiėmė prašymą šiam pakartotiniam nagrinėjimui dar neprasidėjus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūretais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu CHMP buvo priėmęs neigiamą nuomonę, rekomenduodamas nesuteikti Raxone, skirto paveldimos Leberio regos nervo atrofijos (PLRNA) gydymui, rinkodaros leidimo.

Pateikiant neigiamą nuomonę, CHMP buvo iškilę abejonų dėl to, kad lyginant su placebo vartojusiais pacientais, PLRNA sergančių pacientų, kuriems šios ligos simptomai pirmąkart pasireiškė prieš ne daugiau kaip penkerius metus ir kurie Raxone vartojo šešis mėnesius, regėjimas pagerėjo nesmarkiai (raidžių lentelėje Raxone vartoję pacientai įžiūrėjo trimis raidėmis daugiau, nei vartoję placebo). CHMP laikėsi nuomonės, kad tokia gydymo šiuo vaistu nauda nėra reikšminga.

Remdamasi tuo pačiu tyrimu, bendrovė vėliau pasiūlė apriboti Raxone vartojimą, jį skiriant tik tiems PLRNA sergantiems pacientams, kuriems šios ligos simptomai pirmąkart pasireiškė prieš ne daugiau kaip vienus metus. Vertinant pagal raidžių lentelę regėjimui tikrinti, šių pacientų regėjimas pagerėjo 17 raidžių (lyginant su placebo vartojusiais pacientais). Tačiau CHMP priėjo prie išvados, kad minėtame tyrime dalyvavo pernelyg mažai prie pasiūlyto naujojo šiuo vaistu gydytinų pacientų pogrupio priskiriamų tiriamųjų (28 pacientai) ir kad rezultatų patikimumas abejotinas. Atsižvelgdamas į nedidelį šio pogrupio dydį, CHMP laikėsi nuomonės, jog negalima atmesti spontaninio regėjimo pagerėjimo galimybes.

Be to, CHMP nusprendė, kad duomenų, kuriais buvo patvirtintas idebenono veikimo būdas sergant PLRNA, nepakanka.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Raxone teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė paraišką atsiimanti dėl strateginių priežasčių.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė informavo CHMP, kad šiuo metu klinikiniai tyrimai nevykdomi. Labdaringo vartojimo programose dalyvaujantys pacientai gali toliau vartoti Raxone.

Jeigu dalyvaujate labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.