



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 ta' April 2013
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Mistoqsijiet u twegibiet

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Raxone (idebenone)

Fil-21 ta' Marzu 2013, Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH għarrfet b'mod uffiċjali lill-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) bil-ħsieb li tirtira l-applikazzjoni tagħha għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Raxone, li jintuża għall-kura tan-newropatija ottika ereditarja ta' Leber (LHON).

X'inhu Raxone?

Raxone huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva idebenone. Kienet ser tiġi f'pilloli ta' 150 mg.

Għal xiex kien mistenni jintuża Raxone?

Raxone kien mistenni jintuża għall-kura tal-LHON, li hija marda li tintiret ikkaratterizzata minn telf progressiv fil-vista.

Raxone kien ikklassifikat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fil-15 ta' Frar 2007 għall-kura tal-LHON.

Kif huwa mistenni jaħdem Raxone?

Is-sustanza attiva f'Raxone, l-idebenone, taġixxi fuq l-istrutturi ġewwa ċ-ċelloli magħrufa bħala mitokondri, li jipproduċu l-enerġija meħtieġa biex iċ-ċelloli jiffunzjonaw. Pazjenti affettwati mil-LHON ikollhom mutazzjonijiet (difetti) fil-materjal ġenetiku tal-mitokondrija. Dan ifisser li l-mitokondri ma jaħdem kif suppost biex jiġġeneraw l-enerġija, u jipproduċu forom tossiċi ta' ossiġnu (radikali ħielsa) li jagħmlu ħsara liċ-ċelluli tan-nervituri fl-għajnejha u huma meħtieġa għall-vista. Il-mod kif l-idebenone taħdem fil-LHON mhuwiex mifhum għalkollox, iżda hemm l-ipoteżi li dan inaqqas il-formazzjoni ta' radikali ħielsa u jgħin itejjeb il-produzzjoni tal-enerġija, u b'hekk jipprevjeni l-ħsara ċellulari u t-telf tal-vista li tidher fil-LHON.

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



X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġja l-applikazzjoni tagħha?

L-effetti ta' Raxone ġew l-ewwel ittestjati fuq mudelli sperimentali qabel ma ġew studjati fil-bnedmin.

Il-kumpanija pprezentat ir-riżultati minn studju ewlieni b'Raxone li fih ħadu sehem 85 pazjent bil-LHON li s-sintomi tagħhom bdew fil-ħames snin preċedenti. Fl-istudju, il-pazjenti ngħataw Raxone jew placebo (kura finta) għal sitt xhur. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-vista wara sitt xhur kura mkejla permezz ta' test standard tal-għajnejn b'tabella bl-ittri.

Sa fejn kienet waslet il-valutazzjoni tal-applikazzjoni qabel ġiet irtirata?

Il-valutazzjoni kienet intemmet u s-CHMP kien ta opinjoni negattiva. Il-kumpanija kienet talbet li jsir eżami mill-ġdid tal-opinjoni negattiva, iżda dan l-eżami mill-ġdid kien għadu ma ntemmx meta l-kumpanija rtirat.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tas-CHMP dak iż-żmien?

Abbażi tar-reviżjoni tad-dejta, fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP kien ta opinjoni negattiva li tirrakkomanda li l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Raxone tiġi rrifjutata għall-kura tan-newropatija ottika ereditarja ta' Leber (LHON).

Fiż-żmien tal-opinjoni negattiva, is-CHMP kien imħasseb li f'pazjenti bil-LHON li s-sintomi tagħhom bdew fil-ħames snin preċedenti, it-teħid ta' Raxone għal sitt xhur ma wassalx għal titjib sinifikanti fil-vista apparagun ma' placebo (pazjenti li kienu qed jieħdu Raxone kienu kapaċi jiddistingwu tliet ittri aktar fuq it-tabella bl-ittri apparagun ma' pazjenti li kienu qed jieħdu placebo). Is-CHMP ma qiesx li dan il-benefiċċju kien sinifikanti.

Fuq bażi tal-istess studju, aktar tard il-kumpanija pproponiet li l-użu ta' Raxone jiġi ristrett għal pazjenti bil-LHON li s-sintomi tagħhom bdew fis-sena preċedenti. Dawn il-pazjenti wrew titjib ta' 17-il ittra fuq it-tabella bl-ittri apparagun ma' placebo. Madankollu s-CHMP ikkonkluda li s-sottogrupp il-ġdid ta' pazjenti propost għall-kura ma kienx rappreżentat sew fl-istudju (28 pazjent) u l-affidabbiltà tar-riżultati hija dubjuża. Minħabba d-daqs żgħir ta' dan is-sottogrupp, is-CHMP qies li ma setax jiġi eskluż titjib spontanju .

Barra dan is-CHMP qies li d-dejta li tappoġġja l-mod ta' kif l-idebenone taħdem fil-LHON mhijiex biżżejjed.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP kien tal-opinjoni li l-benefiċċji ta' Raxone ma kienux jegħlbu r-riskji tiegħu.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-ittra tagħha li tgħarraf lill-Aġenzija bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija tgħid li kienet qed tirtira l-applikazzjoni għal raġunijiet strateġiċi.

L-ittra tal-irtirar tinsab [hawn](#).

X'inhuma l-konsegwenzi ta' dan l-irtirar għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompessjoni?

Il-kumpanija infurmat lis-CHMP li ma hemm l-ebda prova klinika għaddejja. Pazjenti fi programmi ta' użu b'kompessjoni jistgħu jkomplu jużaw Raxone.

Jekk qed tiegħu sehem fi programm ta' użu b'kumpassjoni u teħtieg aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, ikkuntattja lit-tabib li jkun qed jagħtik il-kura.