



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 aprilie 2013
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de introducere pe piață pentru Raxone (idebenonă)

La data de 21 martie 2013, Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de autorizare de introducere pe piață pentru Raxone, pentru tratamentul neuropatiei optice ereditare Leber (LHON).

Ce este Raxone?

Raxone este un medicament care conține substanța activă idebenonă. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de comprimate de 150 mg.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Raxone?

Raxone ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratamentul LHON, care este o boală ereditară caracterizată prin pierderea progresivă a vederii.

Raxone a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 15 februarie 2007 pentru tratamentul LHON.

Cum ar trebui să acționeze Raxone?

Substanța activă din Raxone, idebenona, acționează asupra structurilor din interiorul celulelor cunoscute sub numele de mitocondrii, care produc energia necesară funcționării celulelor. Pacienții afectați de LHON prezintă mutații (malformații) ale materialului genetic al mitocondriilor. Aceasta înseamnă că mitocondriile nu funcționează corespunzător pentru a genera energie și produc forme toxice de oxigen (radicali liberi) care deteriorează celulele nervoase de la nivelul ochilor, necesare pentru vedere. Modul de acțiune al idebenonei în cazul LHON nu este pe deplin înțeles, dar se crede că reduce formarea radicalilor liberi și că facilitează ameliorarea producției de energie, prevenind astfel deteriorarea celulară și pierderea vederii observate la pacienții cu LHON.



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Efectele Raxone au fost testate pe modele experimentale înainte de a fi studiate la subiecți umani.

Compania a prezentat rezultatele obținute dintr-un studiu principal cu Raxone, care a cuprins 85 de pacienți cu LHON, ale căror simptome au debutat în cei cinci ani anteriori. În cadrul studiului, pacienții au primit Raxone sau placebo (un preparat inactiv) timp de șase luni. Principalul indicator al eficacității a fost modificarea vederii după șase luni de tratament, măsurată printr-un test de vedere standard cu o planșă cu litere.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Evaluarea se încheiase, iar CHMP își exprimase un aviz negativ. Compania solicitase o reexaminare a avizului negativ, dar și-a retras cererea înainte ca această reexaminare să fie inițiată.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor, la momentul retragerii cererii, CHMP emisese un aviz negativ, prin care recomanda refuzul autorizației de introducere pe piață pentru Raxone pentru tratamentul neuropatiei optice ereditare Leber (LHON).

La momentul emiterii avizului negativ, CHMP avea unele motive de îngrijorare legate de faptul că la pacienții cu LHON, ale căror simptome au debutat în cei cinci ani anteriori, administrarea Raxone timp de șase luni nu a dus la o ameliorare semnificativă a vederii comparativ cu placebo (pacienții cărora li s-a administrat Raxone au putut să distingă trei litere în plus pe planșa cu litere față de pacienții cărora li s-a administrat placebo). CHMP nu a considerat că acest beneficiu este semnificativ.

Pe baza aceluiași studiu, compania a propus ulterior să se limiteze utilizarea Raxone la pacienții cu LHON ale căror simptome au debutat în anul anterior. Acești pacienți au prezentat o ameliorare de 17 litere pe planșa cu litere, comparativ cu placebo. Cu toate acestea, CHMP a concluzionat că noul subgrup de pacienți propus pentru tratament nu a fost bine reprezentat în studiu (28 de pacienți) și că fiabilitatea rezultatelor este discutabilă. Dată fiind dimensiunea mică a acestui subgrup, CHMP a considerat că nu putea fi exclusă o ameliorare spontană.

În plus, CHMP a considerat că datele care susțin modul de acțiune al idebenonei în cazul LHON nu sunt suficiente.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, beneficiile Raxone nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care înștiința agenția cu privire la retragerea cererii, compania afirma că își retrăgea cererea din motive strategice.

Scrisoarea de retragere a cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că nu există studii clinice în curs de desfășurare. Pacienții incluși în programe de uz compasional pot continua să utilizeze Raxone.

Dacă participați la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.