



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Raxone (idebenon)

Dňa 21. marca 2013 spoločnosť Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Raxone, ktorý sa mal používať na liečbu Leberovej hereditárnej optickej neuropatie (LHON).

Čo je liek Raxone?

Raxone je liek, ktorý obsahuje účinnú látku idebenon. Mal byť dostupný vo forme 150 mg tabliet.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Raxone?

Liek Raxone sa mal používať na liečbu Leberovej hereditárnej optickej neuropatie, čo je dedičné ochorenie charakterizované postupnou stratou zraku.

Liek Raxone bol 15. februára 2007 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu Leberovej hereditárnej optickej neuropatie.

Akým spôsobom by mal liek Raxone účinkovať?

Účinná látka v lieku Raxone, idebenon, pôsobí na štruktúry vnútri buniek známe ako mitochondrie, ktoré tvoria energiu potrebnú na fungovanie buniek. Pacienti postihnutí Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou majú mutácie (defekty) v genetickom materiáli mitochondrií. To znamená, že mitochondrie nefungujú správne pri tvorbe energie a tvoria toxické formy kyslíka (voľné radikály), ktoré poškadzujú nervové bunky v oku potrebné na videnie. Spôsob, akým idebenon účinkuje pri Leberovej hereditárnej optickej neuropatii, nie je úplne známy, ale predpokladá sa, že znižuje tvorbu voľných radikálov a pomáha zlepšovať tvorbu energie, čím predchádza poškodzovaniu buniek a strate zraku pozorovaným pri Leberovej hereditárnej optickej neuropatii.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Účinky lieku Raxone sa najprv skúmali na pokusných modeloch a potom na ľuďoch.

Spoločnosť predložila výsledky jednej hlavnej štúdie s liekom Raxone zahŕňajúcej 85 pacientov s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou, ktorých symptómy sa objavili v priebehu predchádzajúcich piatich rokov. V tejto štúdii dostávali pacienti liek Raxone alebo placebo (zdanlivý liek) počas šiestich mesiacov. Hlavou mierou účinnosti bola zmena videnia po šiestich mesiacoch liečby meraná pomocou štandardného očného testu s použitím tabule s písmenami.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Hodnotenie bolo ukončené a výbor CHMP vydal negatívne stanovisko. Spoločnosť požiadala o opätovné preskúmanie negatívneho stanoviska, ale ešte pred začiatkom tohto opätovného preskúmania žiadosť stiahla.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov vydal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti negatívne stanovisko a odporučil zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Raxone na liečbu Leberovej hereditárnej optickej neuropatie (LHON).

Výbor CHMP mal v čase vydania negatívneho stanoviska výhrady, že u pacientov s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou, ktorých symptómy sa objavili v priebehu predchádzajúcich piatich rokov, nevedlo užívanie lieku Raxone počas šiestich mesiacov k významnému zlepšeniu videnia v porovnaní s placebom (pacienti užívajúci liek Raxone dokázali na tabuli s písmenami rozlíšiť o tri písmená viac ako pacienti užívajúci placebo). Výbor CHMP nepovažoval tento prínos za významný.

Na základe tej istej štúdie spoločnosť neskôr navrhla obmedziť používanie lieku Raxone na pacientov s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou, ktorých symptómy sa začali objavovať v priebehu predchádzajúceho roka. U týchto pacientov sa prejavilo zlepšenie o 17 písmen na tabuli s písmenami v porovnaní s placebom. Výbor CHMP však dospel k záveru, že nová podskupina pacientov navrhovaná na liečbu nebola v štúdii dostatočne zastúpená (28 pacientov) a že spoľahlivosť výsledkov je sporná. Vzhľadom na malú veľkosť tejto podskupiny výbor CHMP usúdil, že nemožno vylúčiť spontánne zlepšenie.

Výbor CHMP sa navyše domnieval, že údaje na podporu spôsobu účinku idebenonu pri Leberovej hereditárnej optickej neuropatii sú nedostatočné.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že prínos lieku Raxone neprevyšuje jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Spoločnosť vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti uviedla, že žiadosť sťahuje zo strategických dôvodov.

List oznamujúci stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaníach alebo na programoch na použitie v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že neprebiehajú žiadne klinické skúšania. Pacienti, ktorí sa zúčastňujú na programoch na použitie v naliehavých prípadoch, môžu naďalej užívať liek Raxone.

Ak ste účastníkom programu na použitie v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.