



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Raxone (idebenon)

Družba Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH je 21. marca 2013 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Raxone, namenjenim zdravljenju Leberjeve hereditarne optične nevropatije (LHON).

Kaj je zdravilo Raxone?

Raxone je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino idebenon. Na voljo naj bi bilo v obliki 150-miligramskih tablet.

Za kaj naj bi se zdravilo Raxone uporabljalo?

Zdravilo Raxone naj bi se uporabljalo za zdravljenje LHON, tj. dedne bolezni, za katero je značilna postopna izguba vida.

Zdravilo Raxone je bilo 15. februarja 2007 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje LHON.

Kako naj bi zdravilo Raxone delovalo?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Raxone, idebenon, deluje na strukture znotraj celic, imenovane mitohondriji, ki proizvajajo energijo, potrebno za delovanje celic. Za bolnike z LHON so značilne spremembe (okvare) genskega materiala mitohondrijev. To pomeni, da mitohondriji ne morejo pravilno ustvarjati energije in proizvajajo strupene oblike kisika (proste radikale), ki poškodujejo živčne celice v očesu, ki nam omogočajo, da vidimo. Način delovanja idebenona pri LHON ni povsem pojasnjen, vendar se domneva, da zavira tvorjenje prostih radikalov in pomaga izboljšati proizvodnjo energije ter posledično preprečiti okvaro celic in izgubo vida, ki jo povzroča LHON.



Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Učinki zdravila Raxone so bili najprej preskušeni na poskusnih modelih, nato pa so jih raziskali pri ljudeh.

Družba je predstavila rezultate iz ene glavne študije z zdravilom Raxone, v katero je bilo vključenih 85 bolnikov z LHON, pri katerih so se simptomi pojavili v preteklih petih letih. V študiji so bolniki šest mesecev prejeli zdravilo Raxone ali placebo (zdravilo brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba vida po šestih mesecih zdravljenja, ki so jo ocenili s standardnim očesnim testom s tabelo s črkovnimi znaki.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Postopek ocenjevanja je bil zaključen in CHMP je izrazil negativno mnenje. Družba je zahtevala ponoven pregled negativnega mnenja, vendar je zahtevek umaknila še pred začetkom postopka.

Kakšno je bilo takrat priporočilo odbora CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov je Odbor v času umika vloge izrazil negativno mnenje in priporočil zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Raxone za zdravljenje Leberjeve hereditarne optične nevropatije (LHON).

V času izdaje negativnega mnenja je CHMP menil, da po 6-mesečnem zdravljenju z zdravilom Raxone pri bolnikih z LHON, pri katerih so se simptomi pojavili v zadnjih petih letih, niso opazili pomembnega izboljšanja vida v primerjavi s skupino, ki je prejela placebo (bolniki, ki so jemali zdravilo Raxone, so na tabeli s črkovnimi znaki razločili tri črke več kot bolniki, ki so jemali placebo). Zato je CHMP menil, da zdravilo ni izkazalo pomembnih koristi.

Družba je na podlagi iste študije kasneje predlagala omejitev uporabe zdravila Raxone na bolnike z LHON, pri katerih so se simptomi pojavili v preteklem letu. Ti bolniki so na tabeli s črkovnimi znaki prepoznali 17 črk več kot bolniki, ki so jemali placebo. Vendar pa je CHMP zaključil, da je bila nova podskupina bolnikov, predlagana za zdravljenje, v študiji premajhna (28 bolnikov) in da je zanesljivost rezultatov vprašljiva. Menil je, da zaradi majhne podskupine pri teh bolnikov ni mogoče izključiti spontanega izboljšanja.

Poleg tega je menil, da so podatki, s katerimi naj bi utemeljili način delovanja idebenona pri LHON, pomanjkljivi.

Zato je v času umika menil, da koristi zdravila Raxone ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim agencijo obvešča o umiku vloge, navedla, da se je za umik vloge odločila iz strateških razlogov.

Dopis o umiku je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Družba je CHMP obvestila, da trenutno ne potekajo nobena klinična preskušanja. Bolniki, ki sodelujejo v programih sočutne uporabe, lahko še naprej jemljejo zdravilo Raxone.

Če ste vključeni v program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.