



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Raxone (idebenon)

Den 21 mars 2013 underrättade Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH officiellt Kommittén för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Raxone som var avsett för behandling av Lebers hereditära optikusneuropati (LHON).

Vad är Raxone?

Raxone är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen idebenon. Det skulle finnas som 150 mg tabletter.

Vad skulle Raxone användas för?

Raxone skulle användas för behandling av LHON, som är en ärftlig sjukdom kännetecknad av en progressiv förlust av synförmågan.

Raxone klassificerades den 15 februari 2007 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av LHON.

Hur var det tänkt att Raxone skulle verka?

Den aktiva substansen i Raxone, idebenon, verkar på strukturer inuti cellerna som kallas mitokondrier och som producerar den energi som cellerna behöver för att fungera. Patienter som drabbas av LHON har mutationer (defekter) i mitokondriernas genetiska material. Detta innebär att mitokondrierna inte fungerar som de ska för att alstra energi, och producerar toxiska former av syre (fria radikaler) som skadar nervceller i ögat som behövs för att se. Det sätt på vilket idebenon verkar vid LHON är inte helt känt men det antas minska bildningen av fria radikaler och förbättra produktionen av energi, och därigenom förhindra den cellskada och förlust av synförmågan som ses vid LHON.



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Effekterna av Raxone prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor.

Företaget lämnade in resultaten från en huvudstudie med Raxone på 85 patienter med LHON vars symtom börjat under de föregående fem åren. I studien fick patienterna Raxone eller placebo (en överksam behandling) i sex månader. Det huvudsakliga effektmåttet var förändring av synförmågan efter sex månaders behandling uppmätt med hjälp av en vanlig synundersökning med en syntavla.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Utvärderingen var avslutad och CHMP hade avgett ett negativt ställningstagande. Företaget hade begärt omprövning av det negativa ställningstagandet, men återkallade detta innan omprövningen hade börjat.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hade CHMP gett ett negativt ställningstagande vid tidpunkten för återkallandet och rekommenderade att ansökan om godkännande för försäljning skulle avslås för Raxone för behandling av Lebers hereditära optikusneuropati (LHON).

Vid tidpunkten för det negativa ställningstagandet hyste CHMP betänkligheter över att patienter med LHON vars symtom börjat under de föregående fem åren och som tagit Raxone i sex månader inte fick en signifikant förbättrad synförmåga jämfört med placebo (patienter som tog Raxone kunde urskilja tre ytterligare bokstäver på syntavlan jämfört med patienter som tog placebo). CHMP ansåg inte att denna nytta var signifikant.

Baserat på samma studie föreslog företaget senare att användningen av Raxone skulle begränsas till patienter med LHON vars symtom börjat under det föregående året. Dessa patienter uppvisade en förbättring på 17 bokstäver på syntavlan jämfört med placebo. CHMP drog dock slutsatsen att den nya undergruppen av patienter som föreslogs för behandling inte var väl representerad i studien (28 patienter) och att resultatens tillförlitlighet kan ifrågasättas. Med tanke på hur liten denna undergrupp var fann CHMP att en spontan förbättring inte kunde uteslutas.

Dessutom fann CHMP att uppgifterna till stöd för verkningsmekanismen hos idebenon vid LHON inte var tillräckliga.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP därför att nyttan med Raxone inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan angav företaget att det återkallade ansökan av strategiska skäl.

Skrivelsen om återkallandet finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget har informerat CHMP om att inga kliniska prövningar pågår. Patienter som deltar i s.k. compassionate use-program kan fortsätta använda Raxone.

Om du deltar i ett s.k. compassionate use-program och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.