



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/452944/2015
EMA/H/C/003834

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Raxone

Idebenon

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Raxone. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Raxone zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Raxone benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Raxone und wofür wird es angewendet?

Raxone ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Sehstörungen bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit Leberscher hereditärer Optikusneuropathie (LHON), einer Erbkrankheit, die durch einen fortschreitenden Sehverlust gekennzeichnet ist. Raxone enthält den Wirkstoff Idebenon.

Da es nur wenige Patienten mit Leberscher hereditärer Optikusneuropathie gibt, gilt die Krankheit als selten, und Raxone wurde am 15. Februar 2007 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Raxone ist ein „Hybridarzneimittel“. Dies bedeutet, dass es mit einem „Referenzarzneimittel“ vergleichbar ist, das denselben Wirkstoff enthält; Raxone enthält jedoch eine andere Konzentration des Wirkstoffs Idebenon. Das Referenzarzneimittel für Raxone ist Mnesis (45-mg-Tabletten).

Wie wird Raxone angewendet?

Raxone ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung von LHON erfahrenen Arzt eingeleitet und überwacht werden. Raxone ist als 150-mg-Tabletten erhältlich, und die empfohlene Dosis beträgt dreimal täglich zwei Tabletten, die mit Nahrung einzunehmen sind.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Wie wirkt Raxone?

Der Wirkstoff in Raxone, Idebenon, ist ein Antioxidans, das auf die Mitochondrien (die Strukturen innerhalb von Zellen, welche die für das Funktionieren der Zellen notwendige Energie produzieren) wirkt. Patienten, die an LHON leiden, weisen Mutationen (Defekte) im genetischen Material der Mitochondrien auf. Das heißt, dass die Mitochondrien nicht angemessen funktionieren, um Energie zu produzieren, und toxische Formen von Sauerstoff (freie Radikale) bilden, die Nervenzellen im Auge, die für die Sehkraft notwendig sind, schädigen. Man geht davon aus, dass Idebenon hilft, die Energieproduktion durch die Wiederherstellung der Funktion der Mitochondrien zu verbessern, und somit der Schädigung der Zellen und dem Verlust der Sehkraft bei LHON vorbeugt.

Welchen Nutzen hat Raxone in den Studien gezeigt?

Raxone wurde in einer Hauptstudie, an der 85 Patienten mit LHON teilnahmen, untersucht, in der es 24 Wochen lang mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen wurde. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war eine Verbesserung der Sehkraft, die hauptsächlich anhand der Anzahl der Buchstaben festgestellt wurde, die die Patienten im Rahmen eines Sehtests auf einer Standard-Buchstabentafel lesen konnten. Bis zum Ende der Studie konnten die mit Raxone behandelten Patienten, verglichen mit den Patienten, die Placebo erhielten, im Durchschnitt 3 bis 6 Buchstaben mehr lesen. Des Weiteren konnten einige Patienten, die zu Beginn der Studie als „off chart“ (außerhalb der Tafel; nicht in der Lage, überhaupt Buchstaben auf der Tafel lesen zu können) eingestuft wurden, nach der Behandlung im Rahmen des Sehtests zumindest eine Zeile lesen, was ebenfalls als klinisch relevant erachtet wurde. Außerdem erreichten 30 % der mit Raxone behandelten Patienten (16 von 53) eine klinisch relevante Wiederherstellung der Sehkraft in mindestens einem Auge, verglichen mit 10 % der Patienten (3 von 29) in der Placebogruppe.

Zusätzliche stützende Daten hinsichtlich des Nutzens von Raxone wurden im Rahmen eines Programms für erweiterten Zugang (Expanded Access Program) generiert, in dem Raxone einzelnen Patienten, die an keiner klinischen Studie teilnahmen, zur Verfügung gestellt wurde, sowie im Rahmen einer Fallstudienenerhebung, die Daten von Patienten mit LHON umfasste, die keine Behandlung erhielten.

Analysen sämtlicher vorstehend genannter Daten ließen ein gleichbleibendes Muster erkennen, nach dem im Allgemeinen ein höherer Anteil der mit Raxone behandelten Patienten eine Verbesserung der Sehkraft aufwies, als dies bei unbehandelten oder mit Placebo behandelten Patienten der Fall war.

Welche Risiken sind mit Raxone verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Raxone (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) sind Nasopharyngitis und Husten; leichter bis mäßiger Durchfall und Rückenschmerzen treten ebenfalls häufig auf (betreffen bis zu 1 von 10 Personen).

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Raxone berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Raxone zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Raxone gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

Der Ausschuss nahm den Mangel an Behandlungsoptionen zum Vorbeugen oder Rückgängigmachen des Verlustes der Sehkraft bei Patienten mit LHON zur Kenntnis. Die Ergebnisse einer Hauptstudie zeigten eine Verbesserung der Sehkraft bei mit Raxone behandelten Patienten, und diese Tendenz hin

zu einem positiven Effekt wurde durch zusätzliche Daten aus einem Programm für erweiterten Zugang und einer Fallstudienenerhebung bestätigt. Im Hinblick auf die Sicherheit von Raxone war der Großteil der im Zusammenhang mit dem Arzneimittel beobachteten Nebenwirkungen von leichter oder mittelschwerer Intensität.

Raxone wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Raxone zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Raxone noch erwartet?

Da Raxone unter außergewöhnlichen Umständen zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das Raxone in Verkehr bringt, zusätzliche Studien zu den langfristigen Wirkungen und zur Langzeitsicherheit von Raxone durchführen und ein Register von mit Raxone behandelten LHON-Patienten anlegen und pflegen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Raxone ergriffen?

Es wurde ein Risikomanagementplan entwickelt, um sicherzustellen, dass Raxone so sicher wie möglich angewendet wird. Auf der Grundlage dieses Plans wurden Sicherheitsinformationen in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für Raxone aufgenommen, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Heilberufe und Patienten.

Nähere Informationen sind in der [Zusammenfassung des Risikomanagementplans](#) enthalten.

Weitere Informationen über Raxone

Den vollständigen Wortlaut des EPAR und die Zusammenfassung des Risikomanagementplans für Raxone finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Raxone benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Raxone finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).