



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Raxone ιδεβενόνη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Raxone. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Raxone.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Raxone, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης που συνοδεύει το φάρμακο ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Raxone και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Raxone είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για την αντιμετώπιση προβλημάτων όρασης σε ενήλικες και έφηβους ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber, μια νόσο η οποία χαρακτηρίζεται από προοδευτική απώλεια της όρασης. Το Raxone περιέχει τη δραστική ουσία ιδεβενόνη.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Raxone χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 15 Φεβρουαρίου 2007.

Το Raxone είναι «υβριδικό φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι είναι παρόμοιο με «φάρμακο αναφοράς», το οποίο περιέχει την ίδια δραστική ουσία, την ιδεβενόνη, αλλά σε διαφορετική περιεκτικότητα. Το προϊόν αναφοράς του Raxone είναι το Mnesis (45 mg δισκία).

Πώς χρησιμοποιείται το Raxone;

Το Raxone χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή, η δε έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στην κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber. Το Raxone



διατίθεται υπό μορφή δισκίων 150 mg. Η συνιστώμενη δόση είναι δύο δισκία τρεις φορές την ημέρα μαζί με τα γεύματα.

Πώς δρα το Raxone;

Η δραστική ουσία του Raxone, η ιδεβενόνη, είναι αντιοξειδωτικός παράγοντας ο οποίος επενεργεί στα μιτοχόνδρια (δομές στο εσωτερικό των κυττάρων οι οποίες παράγουν την απαιτούμενη ενέργεια για τη λειτουργία των κυττάρων). Οι ασθενείς που πάσχουν από κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber παρουσιάζουν μεταλλάξεις (ελλείμματα) στο γενετικό υλικό των μιτοχονδρίων. Αυτό σημαίνει ότι τα μιτοχόνδρια δεν λειτουργούν σωστά για την παραγωγή ενέργειας και παράγουν τοξικές μορφές οξυγόνου (ελεύθερες ρίζες) που καταστρέφουν τα απαραίτητα για την όραση νευρικά κύτταρα των οφθαλμών. Η ιδεβενόνη εικάζεται ότι βελτιώνει την παραγωγή ενέργειας, αποκαθιστώντας τη λειτουργία των μιτοχονδρίων. Κατ' αυτόν τον τρόπο αποτρέπεται η καταστροφή των κυττάρων και η απώλεια όρασης που παρατηρείται στην κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber.

Ποια είναι τα οφέλη του Raxone σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Raxone έχει μελετηθεί σε μία βασική μελέτη σύγκρισης με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) διάρκειας 24 εβδομάδων, στην οποία μετείχαν 85 ασθενείς με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η βελτίωση της όρασης, όπως αυτή μετρήθηκε κυρίως βάσει του αριθμού των γραμμάτων που μπορούσαν να διαβάσουν οι ασθενείς σε έναν πίνακα γραμμάτων. Όταν ολοκληρώθηκε η μελέτη, οι ασθενείς που είχαν λάβει Raxone μπορούσαν να διαβάσουν κατά μέσο όρο 3 έως 6 γράμματα περισσότερα από τους ασθενείς που είχαν λάβει εικονικό φάρμακο. Επιπλέον, ορισμένοι ασθενείς οι οποίοι δεν μπορούσαν να διαβάσουν κανένα γράμμα στον πίνακα κατά την έναρξη της μελέτης, μετά τη θεραπεία κατόρθωσαν να διαβάσουν μία τουλάχιστον γραμμή, γεγονός το οποίο θεωρείται κλινικά σημαντικό. Επιπλέον, στο 30% των ασθενών που έλαβαν Raxone (16 από τους 53) σημειώθηκε κλινικά σημαντική ανάκτηση της όρασης στο ένα τουλάχιστον μάτι, έναντι 10% των ασθενών (3 από τους 29) στην ομάδα του εικονικού φαρμάκου.

Επιπρόσθετα υποστηρικτικά δεδομένα σχετικά με τα οφέλη του Raxone αντλήθηκαν επίσης από ένα πρόγραμμα διευρυμένης πρόσβασης, στο πλαίσιο του οποίου το Raxone χορηγήθηκε σε μεμονωμένους ασθενείς που δεν μετείχαν σε κλινική μελέτη, καθώς και από μια μελέτη αρχείου περιστατικών η οποία περιελάμβανε δεδομένα ασθενών με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber οι οποίοι δεν είχαν λάβει καμία θεραπεία.

Από τις αναλύσεις όλων αυτών των δεδομένων προέκυψε μια σταθερή τάση, σύμφωνα με την οποία οι ασθενείς που έλαβαν Raxone και βελτιώθηκε η όρασή τους ήταν εν γένει περισσότεροι από τους ασθενείς που δεν έλαβαν θεραπεία ή έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Raxone;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Raxone (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι ρινοφαρυγγίτιδα και βήχας. Συχνή είναι επίσης η ήπιας έως μέτριας σοβαρότητας διάρροια και ο πόνος στη ράχη (εμφανίζεται σε 1 στα 10 άτομα).

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Raxone περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Raxone;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι τα οφέλη του Raxone υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Η επιτροπή έλαβε υπόψη την έλλειψη θεραπειών που αποτρέπουν ή αναστρέφουν την απώλεια όρασης σε ασθενείς με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber. Τα αποτελέσματα της βασικής μελέτης έδειξαν βελτίωση της όρασης σε ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με Raxone. Η ευεργετική αυτή επίδραση επιβεβαιώθηκε από συμπληρωματικά δεδομένα τα οποία αντλήθηκαν από ένα πρόγραμμα διευρυμένης πρόσβασης και από μια μελέτη αρχείου περιστατικών. Όσον αφορά την ασφάλεια του Raxone, οι περισσότερες ανεπιθύμητες ενέργειές του ήταν ήπιας ή μέτριας έντασης.

Το Raxone εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων» διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Raxone. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποιες πληροφορίες αναμένονται ακόμη για το Raxone;

Δεδομένου ότι το Raxone εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», η παρασκευάστρια εταιρεία θα διενεργήσει συμπληρωματικές μελέτες σχετικά με τη μακροχρόνια επίδραση και την ασφάλεια του Raxone, θα καταρτίσει δε και θα τηρεί μητρώο ασθενών με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber οι οποίοι λαμβάνουν το φάρμακο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Raxone;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Raxone χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Raxone συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην [περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου](#)

Λοιπές πληροφορίες για το Raxone

Η πλήρης EPAR και η περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου του Raxone διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Raxone, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Raxone διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.