



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára**

---

# Raxone

idebenon

Ez a dokumentum a Raxone-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Raxone alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Raxone alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

## **Milyen típusú gyógyszer a Raxone és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Raxone egy olyan gyógyszer, amelyet a látásromlás kezelésére alkalmaznak Leber-féle örökletes optikus neuropátiában (LHON), egy progresszív látásvesztéssel járó, öröklött betegségben szenvedő felnőtteknél és 12 évesnél idősebb serdülőknél. A Raxone hatóanyaga az idebenon.

Mivel a Leber-féle örökletes optikus neuropátiában szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Raxone-t 2007. február 15-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Raxone egy „hibrid gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy hasonló egy „referencia-gyógyszerhez”, amely ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de a Raxone-ban az idebenon hatáserőssége különbözik. A Raxone referencia-gyógyszere a Mnesis (45 mg-os tabletták).



## Hogyan kell alkalmazni a Raxone-t?

A Raxone csak receptre kapható, és a kezelést az LHON területén tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. A Raxone 150 mg-os tablettá formájában kapható, és a javasolt adag naponta háromszor két tablettá étkezés közben bevéve.

## Hogyan fejti ki hatását a Raxone?

A Raxone hatóanyaga, az idebenon egy antioxidáns szer, amely a mitokondriumokra hat (ezek a sejtek belsejében található azon struktúrák, amelyek a sejt működéséhez szükséges energiát termelik). Az LHON-ben szenvedő betegeknél a mitokondriumok genetikai anyagának mutációja (hibája) áll fenn. Ez azt jelenti, hogy a mitokondriumok nem működnek megfelelően az energiatermeléshez, és az oxigén toxikus formáit (szabad gyököket) állítanak elő, amelyek károsítják a szem látáshoz szükséges idegsejtjeit. Úgy hiszik, hogy az idebenon azáltal segít javítani az energiatermelést, hogy visszaállítja a mitokondriális funkciót, és így megakadályozza az LHON betegségben megjelenő sejtkárosodást és a látásvesztést.

## Milyen előnyei voltak a Raxone alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Raxone-t egy fő vizsgálatban tanulmányozták 85, LHON betegségben szenvedő beteg részvételével, amelyben 24 héten keresztül placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze. A fő hatékonysági mutató a látás javulása volt, leginkább az alapján, hogy hány betűt voltak képesek a betegek elolvasni a standard látásvizsgáló táblán. A vizsgálat végére a Raxone-val kezelt betegek átlagosan 3-6 betűvel többet tudtak elolvasni, mint a placebóval kezelt betegek. Továbbá egyes betegek, akiket a vizsgálat kezdetén „táblavízus nélküliként” osztályoztak (egy betűt sem képesek elolvasni a táblán), a kezelés után végzett látásvizsgálat során képesek voltak legalább egy sort elolvasni, amit szintén klinikailag fontosnak tartottak. Továbbá a Raxone-val kezelt betegek 30%-ánál (53-ból 16) klinikailag releváns látásjavulás következett be legalább az egyik szemén, míg a placebo csoportban ez az arány 10% (29-ből 3) volt.

A Raxone előnyeire vonatkozó további alátámasztó adatok egy kiterjesztett hozzáférési programból származtak, amely révén a Raxone-t elérhetővé tették a klinikai vizsgálatban részt nem vevő egyes betegek számára is, valamint egy esetjegyzék-kutatásból, amely magában foglalt kezelésben nem részesülő LHON betegektől származó adatokat.

Ezen adatok elemzése következetes mintát mutatott, miszerint általánosságban a Raxone-val kezelt betegek nagyobb hányadánál következett be látásjavulás, mint a nem kezelt vagy placebóval kezelt betegek esetében.

## Milyen kockázatokkal jár a Raxone alkalmazása?

A Raxone leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a nazofaringitisz és a köhögés. Az enyhe vagy mérsékelt hasmenés és a hátfájdalom szintén gyakori (10 beteg közül legfeljebb 1-nél fordul elő).

A Raxone alkalmazásával kapcsolatos összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## Miért engedélyezték a Raxone forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Raxone alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

A bizottság megállapította az LHON betegek látásvesztésének megelőzésére vagy visszafordítására szolgáló kezelések hiányát. A fő vizsgálat eredményei a Raxone-val kezelt betegeknél a látás javulását igazolták, és ezt az előnyös hatásra utaló trendet egy kiterjesztett hozzáférési programból és egy esetjegyzék-kutatásból származó kiegészítő adatok is alátámasztották. A Raxone biztonságosságát illetően a gyógyszer alkalmazása kapcsán előforduló mellékhatások többsége enyhe vagy mérsékelt súlyosságú volt.

A Raxone forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Raxone-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

## Milyen információk várhatók még a Raxone-val kapcsolatban?

Mivel a Raxone forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Raxone-t forgalmazó vállalat további vizsgálatokat fog végezni a Raxone hosszútávú hatásai és biztonságossága vonatkozásában, valamint létrehozza és fenntartja a Raxone-val kezelt LHON betegek regiszterét.

## Milyen intézkedések vannak folyamatban a Raxone biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Raxone lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Raxone-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

További információ a [kockázatkezelési terv összefoglalójában](#) található.

## A Raxone-val kapcsolatos egyéb információ

A Raxone-ra vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports)  
Amennyiben a Raxone-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Raxone-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation)