



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Raxone

idebenone

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Raxone. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Raxone.

Per informazioni pratiche sull'uso di Raxone i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

## Che cos'è e per che cosa si usa Raxone?

Raxone è un medicinale indicato per il trattamento della compromissione visiva in adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber (LHON), una malattia ereditaria caratterizzata da perdita progressiva della vista. Raxone contiene il principio attivo idebenone.

Poiché il numero di pazienti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber è basso, la malattia è considerata "rara" e Raxone è stato qualificato "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 15 febbraio 2007.

Raxone è un medicinale "ibrido". Questo significa che Raxone è analogo a un "medicinale di riferimento" che contiene il medesimo principio attivo, ma con una diversa formulazione. Il medicinale di riferimento di Raxone è Mnesis (comprese da 45 mg).

## Come si usa Raxone?

Raxone può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato e controllato da un medico esperto nella LHON. Il medicinale è disponibile sotto forma di compresse da 150 mg e la dose raccomandata è di due compresse tre volte al giorno, da assumersi con cibo.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



## **Come agisce Raxone?**

Il principio attivo di Raxone, idebenone, è un agente antiossidante che agisce sui mitocondri (le strutture cellulari che producono l'energia necessaria per il funzionamento delle cellule). Nei pazienti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber si osservano mutazioni (difetti) del materiale genetico dei mitocondri. Ciò significa che i mitocondri non funzionano in maniera adeguata e, anziché generare energia, producono forme tossiche di ossigeno (radicali liberi) che danneggiano le cellule nervose dell'occhio deputate alla visione. Si ritiene che idebenone contribuisca a migliorare la produzione di energia ripristinando la funzione mitocondriale, in modo da prevenire il danno cellulare e la perdita della vista osservati nella LHON.

## **Quali benefici di Raxone sono stati evidenziati negli studi?**

Raxone è stato esaminato nell'ambito di uno studio principale cui hanno partecipato 85 pazienti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber, in cui Raxone è stato confrontato con placebo (trattamento fittizio) nell'arco di 24 settimane. Il principale parametro dell'efficacia era il miglioramento della vista, registrato perlopiù sul numero di lettere che i pazienti erano in grado di leggere all'esame della vista standard con tabella ottotipica. Alla fine dello studio, i pazienti trattati con Raxone erano in grado di leggere in media 3-6 lettere in più rispetto ai soggetti trattati con placebo. Inoltre, alcuni pazienti che all'inizio dello studio non erano in grado di leggere la tabella ottotipica (classificati come "off chart") all'esame della vista effettuato al termine del trattamento riuscivano a leggere almeno una riga, il che ha rappresentato un altro risultato clinicamente importante. Inoltre, nel 30 % dei soggetti trattati con Raxone (16 su 53) si è osservato un recupero clinicamente significativo della vista in almeno un occhio rispetto al 10 % dei pazienti (3 su 29) del gruppo trattato con placebo.

Ulteriori dati a sostegno dei benefici di Raxone sono stati tratti da un programma di accesso allargato, con cui Raxone è stato messo a disposizione di singoli pazienti non partecipanti a uno studio clinico, oltre che da un'indagine sui casi di studio, che comprendeva dati di pazienti affetti da LHON non sottoposti ad alcuna terapia.

Dalle analisi di tutti questi dati è emerso un modello coerente per cui, in generale, una maggiore percentuale di pazienti trattati con Raxone ha fatto registrare miglioramenti della vista rispetto ai pazienti non trattati o trattati con placebo.

## **Quali sono i rischi associati a Raxone?**

Gli effetti indesiderati più comuni di Raxone (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono nasofaringite e tosse; sono inoltre frequenti diarrea da lieve a moderata e lombalgia (che può interessare fino a 1 persona su 10).

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Raxone e delle relative limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Perché Raxone è approvato?**

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Raxone sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Il comitato ha preso atto dell'assenza di terapie per la prevenzione o la cura del deficit visivo nei pazienti affetti da LHON. I risultati dello studio principale hanno dimostrato un miglioramento della vista nei pazienti trattati con Raxone e questa tendenza verso un effetto benefico è stata confermata da dati aggiuntivi provenienti da un programma di accesso allargato e da un'indagine sui casi studio.

Per quanto riguarda la sicurezza di Raxone, gli effetti indesiderati osservati con il medicinale sono stati d'intensità perlopiù lieve o moderata.

Raxone è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Raxone a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

### **Quali informazioni sono ancora attese per Raxone?**

Poiché Raxone è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Raxone effettuerà ulteriori studi sugli effetti di lungo termine e sulla sicurezza del medicinale, e istituirà e gestirà un registro dei pazienti con LHON trattati con il medicinale.

### **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Raxone?**

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Raxone sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Raxone sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel [riassunto del piano di gestione dei rischi](#)

### **Altre informazioni su Raxone**

Per la versione completa dell'EPAR e del riassunto del piano di gestione dei rischi di Raxone consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Raxone, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Raxone è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).