



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Raxone

idebenons

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Raxone*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir novērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu tās reģistrēt Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Raxone* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *Raxone* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Raxone* un kāpēc tās lieto?

Raxone ir zāles, ko lieto, lai pieaugušajiem un bērniem no 12 gadu vecuma ārstētu Lēbera pārmantotu optisko neiropātiju (LPON), kas ir pārmantota slimība, ko raksturo progresējošs redzes zudums. *Raxone* satur aktīvo vielu idebenonu.

Tā kā Lēbera pārmantotās optiskās neiropātijas pacientu skaits ir mazs, šo slimību uzskata par retu un 2007. gada 15. februārī *Raxone* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Raxone ir "hibrīdzāles". Tas nozīmē, ka tās ir līdzīgas atsauces zālēm, kas satur to pašu aktīvo vielu, bet *Raxone* satur idebenonu atšķirīgā koncentrācijā. *Raxone* atsauces zāles ir *Mnesis* (45 mg tabletes).

Kā lieto *Raxone*?

Raxone var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga LPON ārstēšanā pieredzējušam ārstam. *Raxone* ir pieejamas kā 150 mg tabletes un ieteicamā deva ir divas tabletes trīs reizes dienā ar pārtiku.

Kā *Raxone* darbojas?

Raxone aktīvā viela idebenons ir antioksidants, kas iedarbojas uz mitohondrijiem (šūnu struktūrām, kas ražo šūnu funkcionēšanai nepieciešamo enerģiju). LPON pacientiem mitohondriju ģenētiskajā

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



materiālā ir mutācijas (defekti). Tas nozīmē, ka mitohondriji nedarbojas pareizi un neražo enerģiju, bet ražo toksiskas skābekļa formas (brīvos radikāļus), kas bojā redzei nepieciešamās acs nervu šūnas. Uzskata, ka idebenons palīdz atjaunot mitohondriju funkciju, uzlabojot enerģijas ražošanu, tādā veidā novēršot šūnu bojājumu un LPON pacientiem novēroto redzes zudumu.

Kādas bija *Raxone* priekšrocības šajos pētījumos?

Raxone tika pētīta vienā pamatpētījumā ar 85 pacientiem ar LPON, salīdzinot tās ar placebo 24 nedēļu laikā. Galvenais efektivitātes kritērijs bija redzes uzlabošanās, galvenokārt, pamatojoties uz burtu skaitu, ko pacienti varēja izlasīt, izpildot standarta redzes pārbaudes testu. Pētījuma beigās pacienti, kurus ārstēja ar *Raxone*, vidēji varēja izlasīt par 3 līdz 6 burtiem vairāk nekā pacienti, kuri lietoja placebo. Turklāt daži pacienti, kurus pētījuma sākumā klasificēja kā "ārpus tabulas"(kuri nespēja izlasīt nevienu tabulas burtu), pēc ārstēšanas redzes testā varēja izlasīt vismaz vienu rindu, ko uzskatīja par klīniski nozīmīgu ieguvumu. Turklāt 30 % pacientu, kurus ārstēja ar *Raxone* (16 no 53), vismaz vienā acī bija klīniski nozīmīga redzes uzlabošanās salīdzinājumā ar 10 % pacientu (3 no 29) placebo grupā.

Papildus atbalstoši dati par *Raxone* ieguvumiem tika iegūti no paplašinātas piekļuves programmas, kurā *Raxone* bija pieejamas atsevišķiem pacientiem, kuri nepiedalījās klīniskā pētījumā, kā arī no gadījumu reģistra aptaujas, kurā iekļāva LPON pacientu datus, kuri nesaņēma nekādu ārstēšanu.

Visu šo datu analīzes pierādīja konsekventu modeli, kurā redzes uzlabojums bija kopumā lielākajai daļai ar *Raxone* ārstēto pacientu salīdzinājumā ar neārstētiem vai ar placebo ārstētiem pacientiem.

Kāds risks pastāv, lietojot *Raxone*?

Visbiežāk novērotās *Raxone* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir nazofaringīts un klepus, tāpat bieži sastopamas blakusparādības (līdz 1 pacientam no 10) ir viegla vai vidēji smaga caureja un muguras sāpes.

Pilns visu *Raxone* izraisīto blakusparādību un ierobežojumu saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Raxone* tika apstiprinātas?

CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Raxone*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Komiteja atzīmēja, ka pacientiem ar LPON trūkst ārstēšanas, kas novērstu redzes zudumu vai atjaunotu to. Pamatpētījuma rezultāti pierādīja, ka ar *Raxone* ārstētajiem pacientiem redze uzlabojās un ka paplašinātās piekļuves programmas un gadījumu reģistra aptaujas papildu dati apstiprināja šo tendenci pozitīva efekta virzienā. Attiecībā uz *Raxone* drošumu nevēlamās blakusparādības vairumā gadījumu, lietojot šīs zāles, bija vāji vai mēreni izteiktas.

Raxone tika reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Raxone*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbauda visu pieejamo jauno informāciju un vajadzības gadījumā atjaunina šo kopsavilkumu.

Kāda informācija vēl ir sagaidāma par *Raxone*?

Tā kā *Raxone* ir apstiprinātas izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Raxone*, veiks papildu pētījumus par *Raxone* ilgtermiņa iedarbību un drošumu, kā arī izveidos un uzturēs ar *Raxone* ārstēto LPON pacientu reģistru.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *Raxone* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *Raxone* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *Raxone* zāļu aprakstā ir ietverta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Papildu informācija ir pieejama [risku pārvaldības plāna kopsavilkumā](#).

Cita informācija par *Raxone*

Pilns *Raxone* EPAR teksts un riska pārvaldības plāna kopsavilkums ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Raxone* atrodama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Raxone* ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)