



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Raxone

idebenone

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Raxone. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Raxone.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Raxone.

Wat is Raxone en wanneer wordt het voorgeschreven?

Raxone is een geneesmiddel dat gebruikt wordt voor behandeling van verminderd gezichtsvermogen bij volwassenen en jongeren vanaf 12 jaar met hereditaire opticusatrofie van Leber (LHON), een erfelijke aandoening die gekenmerkt wordt door een progressief verlies van gezichtsvermogen. Raxone bevat de werkzame stof idebenone.

Aangezien het aantal patiënten met hereditaire opticusatrofie van Leber klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Raxone op 15 februari 2007 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten).

Raxone is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het vergelijkbaar is met een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat, maar Raxone bevat idebenone in een andere sterkte. Het referentiegeneesmiddel voor Raxone is Mnesis (tabletten van 45 mg).

Hoe wordt Raxone gebruikt?

Raxone is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart en gecontroleerd door een arts die ervaring heeft met de behandeling van LHON. Raxone is beschikbaar als tabletten van 150 mg en de aanbevolen dosering is tweemaal per dag twee tabletten met voedsel.

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



Hoe werkt Raxone?

De werkzame stof in Raxone, idebenone, is een antioxidant die werkt op de mitochondriën (structuren in de cel die de energie produceren die de cel nodig heeft om te kunnen werken). Patiënten die aan LHON lijden, hebben mutaties in het genetisch materiaal van de mitochondriën. Dat betekent dat de mitochondriën niet op de juiste manier energie leveren, maar toxische vormen van zuurstof produceren (vrije radicalen) die schadelijk zijn voor de zenuwcellen die nodig zijn om goed te kunnen zien. Men vermoedt dat idebenone helpt bij het herstel van de werking van de mitochondriën en de productie van energie en daarmee beschadiging van de zenuwcellen en het verlies van gezichtsvermogen bij LHON voorkomt.

Welke voordelen bleek Raxone tijdens de studies te hebben?

Raxone is onderzocht in een hoofdonderzoek bij 85 LHON-patiënten, waarin het werd vergeleken met placebo (een onwerkzaam middel) gedurende 24 weken. Het belangrijkste criterium voor werkzaamheid was verbetering van het gezichtsvermogen, meestal gemeten aan het aantal cijfers of letters dat de patiënten konden lezen op een standaardkaart voor visusonderzoek. Aan het einde van het onderzoek konden de patiënten uit de Raxonegroep gemiddeld 3 tot 6 letters meer lezen dan de patiënten in de placebogroep. Verder was een aantal van de patiënten die aan het begin van het onderzoek helemaal geen letters van de kaart konden lezen, na de behandeling in staat om ten minste één regel te lezen, en dit werd ook beschouwd als klinisch belangrijk. Bovendien had 30% van de patiënten die met Raxone behandeld waren, een klinisch relevante verbetering van het gezichtsvermogen in ten minste één oog, vergeleken met 10% van de patiënten (3 van de 29) in de placebogroep.

Aanvullende ondersteunende gegevens over de voordelen van Raxone waren afkomstig uit een programma voor uitgebreide toegang waardoor Raxone beschikbaar werd voor individuele LHON-patiënten die niet deelnamen aan een klinisch onderzoek en uit een dossieronderzoek met gegevens van LHON-patiënten die in het geheel niet behandeld werden.

De analyse van al deze gegevens toonde een consistent patroon, waaruit bleek dat in de Raxonegroep een groter percentage verbetering van het gezichtsvermogen voorkwam dan in de groepen onbehandelde patiënten en patiënten die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Raxone in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Raxone (die bij meer dan 1 van 10 patiënten kunnen optreden) zijn nasofaryngitis en hoest; lichte tot matige diarree en pijn in de rug komen ook vaak voor (bij minder dan 1 van 10 patiënten).

Lees de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Raxone.

Waarom is Raxone goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Raxone groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren.

Het Comité merkte op dat er weinig mogelijkheden zijn voor preventie of herstel van verminderd gezichtsvermogen bij LHON. Uit de resultaten van het hoofdonderzoek bleek een verbetering van het gezichtsvermogen bij patiënten die met Raxone behandeld waren, en deze trend naar een gunstig effect werd bevestigd door aanvullende gegevens uit een programma voor uitgebreide toegang en een

dossieronderzoek. With regard to the safety of Raxone, the majority of side effects seen with the medicine were mild or moderate in intensity.

Raxone is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Raxone te verkrijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Raxone?

Aangezien aan Raxone goedkeuring onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Raxone in de handel brengt een aantal aanvullende studies verrichten naar de effecten en de veiligheid van Raxone op lange termijn en zal het een register bijhouden van LHON-patiënten die met Raxone behandeld zijn.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Raxone te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Raxone te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiters van Raxone veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Meer informatie is te vinden in de [samenvatting van het risicobeheerplan](#).

Overige informatie over Raxone

Het volledige EPAR en de samenvatting van het risicobeheerplan voor Raxone zijn te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Lees de bijsluiters (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Raxone.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Raxone is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).