



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Raxone

idebenon

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Raxone. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Raxone.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Raxone należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Raxone i w jakim celu się go stosuje?

Raxone to lek stosowany w leczeniu zaburzeń widzenia u osób dorosłych i dzieci w wieku co najmniej 12 lat z dziedziczną neuropatią nerwu wzrokowego Lebera (ang. Leber's Hereditary Optic Neuropathy; LHON), chorobą dziedziczną charakteryzującą się postępującą utratą wzroku. Lek Raxone zawiera substancję czynną idebenon.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z dziedziczną neuropatią nerwu wzrokowego Lebera choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 15 lutego 2007 r. produkt Raxone uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Produkt Raxone jest „lekiem hybrydowym”. Oznacza to, że jest on podobny do leku referencyjnego zawierającego tę samą substancję czynną, przy czym lek Raxone zawiera idebenon w innej mocy dawki. Lekiem referencyjnym dla leku Raxone jest lek Mnesis (tabletki 45 mg).

Jak stosować produkt Raxone?

Lek Raxone wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinno zostać rozpoczęte i być nadzorowane przez lekarza z doświadczeniem w leczeniu LHON. Lek Raxone jest dostępny w postaci tabletek 150 mg, a zalecana dawka to dwie tabletki przyjmowane trzy razy na dobę z jedzeniem.

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



Jak działa produkt Raxone?

Substancja czynna leku Raxone, idebenon, to przeciwutleniacz oddziałujący na mitochondria (struktury wewnątrzkomórkowej wytwarzające energię niezbędną dla funkcjonowania komórki). Pacjenci z LHON posiadają mutacje (wady) w materiale genetycznym mitochondriów. Sprawia to, że mitochondria nie są w stanie generować energii w sposób prawidłowy i produkują toksyczne formy tlenu (wolne rodniki), które uszkadzają komórki nerwowe w oku potrzebne do funkcjonowania zmysłu wzroku. Uważa się, że idebenon poprawia wytwarzanie energii poprzez przywrócenie działania mitochondriów, zapobiegając w ten sposób uszkodzeniu komórek i utracie wzroku występującej w przebiegu LHON.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Raxone zaobserwowano w badaniach?

Lek Raxone badano w jednym badaniu głównym z udziałem 85 pacjentów z LHON, w którym porównywano go z placebo (leczeniem pozorowanym) przez ponad 24 tygodnie. Główną miarą skuteczności była poprawa zdolności widzenia opierająca się głównie na liczbie liter, które pacjenci byli w stanie odczytać podczas standardowego badania wzroku z użyciem tablicy. Do końca badania pacjenci leczeni z zastosowaniem leku Raxone byli w stanie odczytać średnio od 3 do 6 liter więcej w porównaniu z pacjentami otrzymującymi placebo. Ponadto niektórzy pacjenci, którzy na początku badania zostali sklasyfikowani jako „poza skalą” (niezdolni do odczytania jakichkolwiek liter na tablicy), podczas badania wzroku po leczeniu byli w stanie odczytać co najmniej jeden wiersz, co także uznano za istotne klinicznie. Dodatkowo u 30% pacjentów leczonych z zastosowaniem leku Raxone (16 z 53) nastąpiła istotna klinicznie poprawa zdolności widzenia w co najmniej jednym oku w porównaniu z 10% pacjentów (3 z 29) w grupie przyjmującej placebo.

Dodatkowe dane dotyczące korzyści ze stosowania leku Raxone uzyskano z programu rozszerzonego dostępu, za pośrednictwem którego lek Raxone został udostępniony pacjentom indywidualnym, którzy nie uczestniczyli w badaniu klinicznym, oraz z badania CRS (ang. Case Record Survey), w tym dane dotyczące pacjentów z LHON niepoddanych żadnemu leczeniu.

Analizy wszystkich tych danych wykazały spójność pod względem poprawy zdolności widzenia u większej liczby pacjentów przyjmujących lek Raxone w porównaniu z pacjentami nieleczonymi lub przyjmującymi placebo.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Raxone?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Raxone (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 osób) to zapalenie błony śluzowej nosa i gardła oraz kaszel, a często występują także biegunka i ból pleców o nasileniu od łagodnego do umiarkowanego (mogące wystąpić u maksymalnie 1 na 10 osób).

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Raxone znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Raxone?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Raxone przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Komitet zauważył, że brakuje terapii zapobiegających utracie wzroku lub przywracających go u pacjentów z LHON. Wyniki badania głównego wykazały poprawę zdolności widzenia u pacjentów leczonych produktem Raxone, a tendencja do korzystnego działania została potwierdzona przez dodatkowe dane pochodzące z programu rozszerzonego dostępu i badania CRS. W odniesieniu do

bezpieczeństwa stosowania produktu Raxone większość zaobserwowanych działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku miała nasilenie od łagodnego do umiarkowanego.

Lek Raxone dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Raxone z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Raxone?

W związku z tym, że produkt Raxone został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca produkt Raxone do obrotu przeprowadzi dodatkowe badania dotyczące działania i bezpieczeństwa długotrwałego stosowania tego produktu oraz utworzy i będzie utrzymywać rejestr pacjentów z LHON leczonych z zastosowaniem produktu Raxone.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Raxone?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Raxone opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Raxone zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Więcej informacji znajduje się w [streszczeniu planu zarządzania ryzykiem](#)

Inne informacje dotyczące produktu Raxone:

Pełne sprawozdanie EPAR i streszczenie planu zarządzania ryzykiem dotyczące produktu Raxone znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Raxone należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Raxone znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.