



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Raxone

idebenona

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Raxone. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Raxone.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Raxone, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

## O que é o Raxone e para que é utilizado?

O Raxone é um medicamento utilizado no tratamento da deficiência visual em adultos e adolescentes com idade igual ou superior a 12 anos que sofrem de neuropatia ótica hereditária de Leber (LHON), uma doença hereditária que se caracteriza por perda de visão progressiva. O Raxone contém a substância ativa idebenona.

Dado o número de doentes afetados por neuropatia ótica hereditária de Leber ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Raxone foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 15 de fevereiro de 2007.

O Raxone é um «medicamento híbrido». Isto significa que é semelhante a um medicamento de referência que contém a mesma substância ativa, mas o Raxone contém idebenona numa concentração diferente. O medicamento de referência para o Raxone é o Mnesis (comprimidos de 45 mg).

## Como se utiliza o Raxone?

O Raxone só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deverá ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência na LHON. O Raxone está disponível na forma de

---

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



comprimidos de 150 mg e a posologia recomendada é de dois comprimidos tomados três vezes por dia com alimentos.

## **Como funciona o Raxone?**

A substância ativa do Raxone, a idebenona, é um agente antioxidante que atua nas mitocôndrias (estruturas no interior das células que produzem a energia necessária para assegurar o funcionamento das células). Os doentes com LHON apresentam mutações (defeitos) no material genético das mitocôndrias. Ou seja, as mitocôndrias não funcionam adequadamente de forma a gerar energia e produzem formas tóxicas de oxigénio (radicais livres) que danificam as células nervosas do olho que são necessárias para a visão. Considera-se que a idebenona ajuda a melhorar a produção de energia ao restaurar a função das mitocôndrias, prevenindo, desta forma, os danos celulares e a perda de visão observada na LHON.

## **Quais os benefícios demonstrados pelo Raxone durante os estudos?**

O Raxone foi analisado num estudo principal que incluiu 85 doentes com LHON, no qual foi comparado com um placebo (tratamento simulado) ao longo de 24 semanas. O principal parâmetro de eficácia foi a melhoria da visão, baseada sobretudo no número de letras que os doentes conseguiam ler num quadro de letras ocular padrão. No final do estudo, os doentes tratados com o Raxone conseguiam ler, em média, mais 3 a 6 letras em comparação com os doentes a receberem o placebo. Além disso, alguns doentes que foram classificados como estando «fora do quadro» (incapazes de ler qualquer letra no quadro) no início do estudo foram capazes de ler pelo menos uma linha durante o teste ocular após o tratamento, o que também foi considerado clinicamente importante. Adicionalmente, 30 % dos doentes tratados com o Raxone (16 em 53) apresentaram uma recuperação da visão clinicamente relevante pelo menos num olho, em comparação com 10 % dos doentes (3 em 29) no grupo do placebo.

Outros dados de apoio sobre os benefícios do Raxone foram obtidos num programa de acesso expandido, através do qual o Raxone foi disponibilizado a doentes individuais que não participavam num estudo clínico, e foram também obtidos num levantamento de registo de casos que incluiu dados de doentes com LHON que não receberam qualquer tratamento.

As análises de todos estes dados demonstraram um padrão consistente, segundo o qual uma percentagem maior de doentes tratados com o Raxone apresentavam uma melhoria da visão em comparação com doentes não tratados ou tratados com um placebo.

## **Quais são os riscos associados ao Raxone?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Raxone (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são nasofaringite e tosse. Diarreia ligeira a moderada e dor lombar (nas costas) são igualmente frequentes (afetando até 1 em cada 10 pessoas).

Para a lista completa de todos os efeitos secundários e restrições de utilização relativos ao Raxone, consulte o Folheto Informativo.

## **Por que foi aprovado o Raxone?**

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Raxone são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

O Comité constatou a ausência de tratamentos para a prevenção ou reversão da perda de visão nos doentes com LHON. Os resultados do estudo principal demonstraram uma melhoria da visão nos

doentes tratados com o Raxone. Esta tendência para um efeito benéfico foi confirmada por dados adicionais de um programa de acesso expandido e de um levantamento de registo de casos. Relativamente à segurança do Raxone, a maioria dos efeitos secundários observados com o medicamento apresentaram uma intensidade ligeira ou moderada.

O Raxone foi autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre o Raxone devido à raridade da doença. A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

### **Que informação ainda se aguarda sobre o Raxone?**

Dado que o Raxone foi aprovado em circunstâncias excecionais, a empresa que comercializa o Raxone realizará estudos adicionais sobre os efeitos e a segurança a longo prazo do Raxone, e criará e manterá um registo de doentes com LHON tratados com o Raxone.

### **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Raxone?**

Foi desenvolvido um plano de gestão dos riscos para garantir a utilização segura do Raxone. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Raxone, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Podem ser encontradas informações adicionais no [resumo do plano de gestão dos riscos](#)

### **Outras informações sobre o Raxone**

O EPAR completo e o resumo do plano de gestão dos riscos relativos ao Raxone podem ser consultados no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Raxone, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Raxone pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).