



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Raxone

idebenon

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Raxone. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Raxone ska användas.

Praktisk information om hur Raxone ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Raxone och vad används det för?

Raxone är ett läkemedel som används vid behandling av nedsatt syn hos vuxna och ungdomar från 12 års ålder som har Lebers hereditära optikusneuropati (LHON), en ärftlig sjukdom som kännetecknas av gradvis förlorad synförmåga. Raxone innehåller den aktiva substansen idebenon.

Eftersom antalet patienter med Lebers hereditära optikusneuropati är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Raxone klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 15 februari 2007.

Raxone är ett "hybridläkemedel", vilket innebär att det liknar ett "referensläkemedel" som innehåller samma aktiva substans, men Raxone har en annan styrka av idebenon. Referensläkemedlet för Raxone är Mnesis (45 mg tabletter).

Hur används Raxone?

Raxone är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av LHON. Raxone finns som 150 mg tabletter, och rekommenderad dos är två tabletter som tas tre gånger om dagen tillsammans med föda.



Hur verkar Raxone?

Den aktiva substansen i Raxone, idebenon, är en antioxidant som verkar på mitokondrierna (de strukturer i cellerna som producerar den energi cellerna behöver för att fungera). Patienter som drabbas av LHON har mutationer (defekter) i mitokondriernas genetiska material. Detta innebär att mitokondrierna inte fungerar på rätt sätt för att framställa energi, utan producerar giftiga former av syre (fria radikaler) som skadar nervceller i ögat som behövs för att se. Idebenon tros förbättra produktionen av energi genom att återställa mitokondriernas funktion, vilket förhindrar den cellskada och förlorade synförmåga som ses vid LHON.

Vilken nytta med Raxone har visats i studierna?

Raxone har undersökts i en huvudstudie på 85 patienter med LHON, där det jämfördes med placebo (en överksam behandling) under 24 veckor. Huvudmålet på effekt var förbättring av synen, främst baserat på antalet bokstäver som patienterna kunde läsa på en vanlig synundersökningstavla. Vid slutet av studien kunde patienterna som behandlades med Raxone i genomsnitt läsa 3 till 6 bokstäver mer än patienterna som fick placebo. Vidare kunde vissa patienter som i början av studien beskrevs som "off chart" (kunde inte läsa någon bokstav på tavlan) läsa minst en rad vid ögonundersökningen efter behandlingen, vilket också betraktades som kliniskt viktigt. Dessutom hade 30 procent av patienterna som behandlades med Raxone (16 av 53) en kliniskt relevant återhämtad synförmåga i minst ett öga, jämfört med 10 procent av patienterna (3 av 29) i placebogruppen.

Kompletterande understödjande uppgifter om nyttan med Raxone kom från ett EAP (Expanded Access Programme), där Raxone tillgängliggjordes för enskilda patienter som inte deltog i någon klinisk studie, och från en undersökning av patientjournaler i vilken ingick uppgifter från patienter med LHON som inte fick någon behandling.

Efter analys av alla dessa data framgick ett konsekvent mönster där generellt en större andel patienter som behandlades med Raxone hade förbättrad syn jämfört med obehandlade eller placebo-behandlade patienter.

Vilka är riskerna med Raxone?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Raxone (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är nasofaryngit och förkylning. Lindrig till måttlig diarré och ryggsmärta är också vanligt (drabbar upp till 1 av 10 personer).

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Raxone finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Raxone?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Raxone är större än riskerna och rekommenderade att Raxone skulle godkännas för försäljning i EU.

Kommittén noterade bristen på behandlingar för att förebygga eller vända den förlorade synförmågan hos patienter med LHON. Resultaten av huvudstudien visade på en förbättrad synförmåga hos patienter som behandlades med Raxone, och denna trend mot en gynnsam effekt bekräftades av kompletterande uppgifter från ett EAP och en undersökning av patientjournaler. Vad gäller säkerheten av Raxone var de flesta av läkemedlets biverkningar av lindrig eller måttlig svårighetsgrad.

Raxone har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta beror på att det inte har varit möjligt att få fullständig information om Raxone eftersom sjukdomen är sällsynt.

Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Raxone saknas för närvarande?

Eftersom Raxone har godkänts i enlighet med reglerna om godkännande i undantagsfall kommer företaget som marknadsför Raxone att utföra kompletterande studier om de långvariga effekterna och säkerheten av Raxone, och upprätta och föra ett register över LHON-patienter som behandlas med Raxone.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Raxone?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Raxone används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Raxone. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

I [sammanfattningen av riskhanteringsplanen](#) finns mer information.

Mer information om Raxone

EPAR och sammanfattningen av riskhanteringsplanen finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Raxone finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Raxone från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.