



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 kwietnia 2013 r.
EMA/242206/2013
EMA/H/C/002425

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Raxone (idebenon)

W dniu 21 marca 2013 r. firma Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Raxone, który miał być stosowany w leczeniu dziedzicznej neuropatii nerwu wzrokowego Lebera (LHON).

Co to jest lek Raxone?

Produkt Raxone to lek zawierający substancję czynną idebenon. Miał on być dostępny w postaci tabletek 150 mg.

W jakim celu miał być stosowany lek Raxone?

Lek Raxone miał być stosowany w leczeniu LHON – choroby dziedzicznej charakteryzującej się postępującą utratą wzroku.

W dniu 15 lutego 2007 r. lek Raxone uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach) stosowany w leczeniu LHON.

Jakie jest oczekiwane działanie leku Raxone?

Substancja czynna leku Raxone, idebenon, wpływa na struktury wewnątrzkomórkowe zwane mitochondriami, które produkują energię potrzebną do funkcjonowania komórek. 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. Sposób działania idebenonu w przypadku LHON nie jest w pełni znany, ale uważa się, że zmniejsza on intensywność tworzenia wolnych rodników i pomaga w produkcji energii, a tym samym zapobiega uszkodzeniu komórek i utracie wzroku obserwowanej w przebiegu LHON.



Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Zanim przeprowadzono badania na ludziach, działanie produktu Raxone badano w modelach eksperymentalnych.

Firma przedstawiła wyniki jednego badania głównego z użyciem leku Raxone i udziałem 85 pacjentów z LHON, której objawy pojawiły się w ciągu pięciu lat przed badaniem. W trakcie badania pacjenci otrzymywali lek Raxone lub placebo (leczenie pozorowane) przez sześć miesięcy. Główną miarą skuteczności działania leku była zmiana zdolności widzenia po sześciu miesiącach leczenia, zmierzona za pomocą standardowego badania wzroku z użyciem tablicy literowej.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Ocena została zakończona i CHMP wydał negatywną opinię. Firma wystąpiła o ponowną ocenę negatywnej opinii, ale wycofała wniosek przed rozpoczęciem tej ponownej oceny.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP wydał negatywną opinię na podstawie przeglądu danych, zalecając odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu Raxone do obrotu w leczeniu dziedzicznej neuropatii nerwu wzrokowego Lebera (LHON).

W chwili wydania negatywnej opinii CHMP wyraził obawę, iż u pacjentów z LHON, u których objawy pojawiły się w ciągu pięciu lat przed badaniem, przyjmowanie produktu Raxone przez sześć miesięcy nie doprowadziło do istotnej poprawy zdolności widzenia w porównaniu z placebo (pacjenci przyjmujący produkt Raxone byli w stanie rozróżnić trzy litery więcej na tablicy literowej w porównaniu z pacjentami przyjmującymi placebo). CHMP nie uznał tej korzyści za istotną.

W oparciu o to samo badanie firma zaproponowała później ograniczenie stosowania produktu Raxone do pacjentów z LHON, której objawy pojawiły się w ciągu roku przed badaniem. U pacjentów tych zaobserwowano poprawę wynoszącą 17 liter na tablicy literowej w porównaniu z placebo. Jednak CHMP stwierdził, że nowa podgrupa pacjentów, którą zaproponowano do leczenia, nie była wystarczająco licznie reprezentowana w badaniu (28 pacjentów) oraz że wiarygodność uzyskanych wyników jest dyskusyjna. Ze względu na niewielką liczebność tej podgrupy CHMP uznał, że nie można wykluczyć wystąpienia samoczynnej poprawy.

Dodatkowo CHMP uznał, że dane wykazujące sposób działania idebenonu w przypadku LHON nie są wystarczające.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku według CHMP korzyści ze stosowania produktu Raxone nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek z powodów strategicznych.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma poinformowała CHMP, że nie trwają żadne badania kliniczne. Pacjenci biorący udział w programach „leczenia ostatniej szansy” mogą w dalszym ciągu stosować produkt Raxone.

W przypadku uczestnictwa w programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.