



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Raxone

idebenonă

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Raxone. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Raxone.

Pentru informații practice privind utilizarea Raxone, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Raxone și pentru ce se utilizează?

Raxone este un medicament utilizat pentru tratamentul tulburărilor de vedere la adulți și adolescenți cu vârsta de 12 ani și peste cu neuropatie optică ereditară Leber (LHON), o boală ereditară caracterizată prin pierderea progresivă a vederii. Raxone conține substanța activă idebenonă.

Deoarece numărul pacienților cu neuropatie optică ereditară Leber este scăzut, boala este considerată „rară”, iar Raxone a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 15 februarie 2007.

Raxone este un „medicament hibrid”. Acest lucru înseamnă că este similar cu un „medicament de referință” care conține aceeași substanță activă, dar Raxone conține idebenonă într-o concentrație diferită. Medicamentul de referință pentru Raxone este Mnesis (comprimate de 45 mg).

Cum se utilizează Raxone?

Raxone se poate obține numai pe bază de rețetă și tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul LHON. Raxone este disponibil sub formă de comprimate de 150 mg, iar doza recomandată este de două comprimate luate de trei ori pe zi, împreună cu alimente.



Cum acționează Raxone?

Substanța activă din Raxone, idebenona, este un agent antioxidant care acționează asupra mitocondriilor (structurile din interiorul celulelor care produc energia necesară funcționării celulelor). Pacienții afectați de LHON prezintă mutații (perturbări) la nivelul materialului genetic al mitocondriilor. Aceasta înseamnă că mitocondriile nu mai funcționează corespunzător pentru a genera energie și produc forme toxice de oxigen (radicali liberi) care deteriorează celulele nervoase din ochi, necesare pentru vedere. Se consideră că idebenona ajută la îmbunătățirea producției de energie prin restabilirea funcției mitocondriale, împiedicând astfel deteriorarea celulară și pierderea vederii observate la pacienții cu LHON.

Ce beneficii a prezentat Raxone pe parcursul studiilor?

Raxone a fost studiat într-un studiu principal, care a cuprins 85 de pacienți cu LHON, în care a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) pe parcursul a 24 de săptămâni. Principalul indicator al eficacității a fost ameliorarea vederii, care s-a bazat în principal pe numărul de litere pe care pacienții le-au putut citi de pe planșa cu litere standard pentru examinare. La finalizarea studiului, pacienții tratați cu Raxone au putut citi în medie cu 3 până la 6 litere mai mult în comparație cu pacienții care au primit placebo. Mai mult, unii dintre pacienții care la începutul studiului fuseseră clasificați drept „off chart” (incapabili să citească vreo literă de pe panou) au putut să citească cel puțin un rând în cursul examinării oftalmologice realizate după tratament, iar acest lucru a fost considerat, de asemenea, important din punct de vedere clinic. În plus, 30% din pacienții tratați cu Raxone (16 din 53) au prezentat o recuperare a vederii relevantă din punct de vedere clinic la cel puțin unul dintre ochi, în comparație cu 10% din pacienții (3 din 29) din grupul placebo.

Date suplimentare de susținere privind beneficiile Raxone au fost obținute dintr-un program de acces extins prin intermediul căruia Raxone a fost pus la dispoziția unor pacienți individuali care nu au participat la studiul clinic, precum și dintr-un studiu de supraveghere retrospectivă a cazurilor care a inclus date de la pacienții cu LHON cărora nu li s-a administrat niciun tratament.

Analizele acestor date au demonstrat un tipar unitar conform căruia, în general, o proporție mai mare de pacienți tratați cu Raxone au prezentat ameliorări ale vederii, în comparație cu pacienții netratați sau cei tratați cu placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Raxone?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Raxone (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt rinofaringita și tusea; de asemenea, sunt frecvente diareea ușoară până la moderată și durerile de spate (care afectează până la 1 persoană din 10).

Pentru lista completă a efectelor secundare și a restricțiilor asociate cu Raxone, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Raxone?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Raxone sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Comitetul a remarcat lipsa tratamentelor pentru prevenirea sau inversarea procesului de pierdere a vederii la pacienții cu LHON. Rezultatele studiului principal au demonstrat o ameliorare a vederii la pacienții tratați cu Raxone, iar această tendință de obținere a unui efect benefic a fost confirmată prin date suplimentare obținute dintr-un program de acces extins și un studiu de supraveghere retrospectivă a cazurilor. În ceea ce privește siguranța Raxone, majoritatea efectelor secundare observate în asociere cu acest medicament au fost de intensitate ușoară până la moderată.

Raxone a fost autorizat în „circumstanțe excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, până în prezent nu s-au putut obține informații complete despre Raxone. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Raxone?

Având în vedere că Raxone a fost autorizat în circumstanțe excepționale, compania care comercializează Raxone va realiza studii suplimentare privind efectele și siguranța pe termen lung pentru Raxone și va institui și menține un registru al pacienților cu LHON tratați cu Raxone.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Raxone?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Raxone să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Raxone, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Informații suplimentare sunt disponibile în [rezumatul planului de management al riscurilor](#).

Alte informații despre Raxone

EPAR-ul complet și rezumatul planului de management al riscurilor pentru Raxone sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Raxone, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Raxone este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).