



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público general

Raxone

idebenona

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Raxone. En él se explica cómo la Agencia evaluó el medicamento para recomendar su autorización en la UE y las condiciones de su uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Raxone.

Para más información sobre el tratamiento con Raxone, el paciente deberá leer el prospecto o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Raxone y para qué se utiliza?

Raxone es un medicamento que se usa para tratar los trastornos visuales en adultos y adolescentes mayores de 12 años con neuropatía óptica hereditaria de Leber (NOHL), enfermedad hereditaria que se caracteriza por una pérdida visual progresiva. Raxone contiene el principio activo idebenona.

Dado el escaso número de personas afectadas por la neuropatía óptica hereditaria de Leber, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Raxone fue designado «medicamento huérfano» (medicamento utilizado en enfermedades raras) el 15 de febrero de 2007.

Raxone es un «medicamento híbrido». Esto significa que es similar a un «medicamento de referencia» que contiene el mismo principio activo, pero Raxone contiene idebenona en una concentración distinta. El medicamento de referencia para Raxone es Mnesis (comprimidos de 45 mg).

¿Cómo se usa Raxone?

Raxone solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarse bajo la supervisión de un médico con experiencia en NOHL. Raxone está disponible en comprimidos de 150 mg y la dosis recomendada es dos comprimidos tomados tres veces al día con comida.

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



¿Cómo actúa Raxone?

El principio activo de Raxone, idebenona, es un antioxidante que actúa en las mitocondrias (las estructuras dentro de las células que producen la energía necesaria para que las células funcionen). Los pacientes con NOHL presentan mutaciones (defectos) en el material genético de las mitocondrias. Esto significa que las mitocondrias no funcionan correctamente para generar energía y producen formas tóxicas de oxígeno (radicales libres) que dañan las células nerviosas del ojo, necesarias para la visión. Se piensa que la idebenona ayuda a mejorar la producción de energía restaurando la función de las mitocondrias, lo que evita el daño celular y la pérdida de visión que se observa en la NOHL.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Raxone en los estudios realizados?

Raxone se ha investigado en un estudio principal en 85 pacientes con NOHL, en el que se comparó con placebo (un tratamiento simulado) durante 24 semanas. La medida principal de eficacia fue la mejora de la visión, basada principalmente en el número de letras que los pacientes podían leer en una tabla ocular estándar. Para el final del estudio, los pacientes tratados con Raxone podían leer una media de 3 a 6 letras más que los pacientes que recibieron placebo. Además, algunos pacientes que se clasificaron como 'fuera de la tabla' (incapaces de leer ninguna letra del gráfico) al comienzo del estudio podían leer al menos una línea durante la prueba visual después del tratamiento y esto se consideró clínicamente importante. Además, el 30 % de los pacientes tratados con Raxone (16 de 53) presentaron una recuperación clínicamente relevante de la visión como mínimo en uno de los ojos, en comparación con el 10 % de los pacientes (3 de 29) en el grupo de placebo.

Se obtuvieron datos adicionales que avalan los beneficios de Raxone de un programa de acceso ampliado a través del cual, Raxone se puso a disposición de pacientes que no participaban en un ensayo clínico y de una encuesta de registro de datos, que incluía los datos de pacientes con NOHL que no recibieron ningún tratamiento.

Los análisis de estos datos demostraron un patrón uniforme por el cual generalmente una mayor proporción de pacientes tratados con Raxone presentaron una mejora visual en comparación con los pacientes no tratados o tratados con placebo.

¿Cuál es el riesgo asociado a Raxone?

Los efectos secundarios más frecuentes de Raxone (que pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) son la nasofaringitis y la tos; también son frecuentes la diarrea leve o moderada y el dolor de espalda (que afecta hasta 1 de cada 10 personas).

Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Raxone, ver el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Raxone?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Raxone son mayores que sus riesgos y recomendó que se autorizara su uso en la UE.

El Comité señaló la falta de tratamientos para prevenir o revertir la pérdida visual en los pacientes con NOHL. Los resultados del estudio principal demostraron una mejora de la visión en los pacientes tratados con Raxone y esta tendencia hacia un efecto beneficioso se confirmó mediante datos adicionales de un programa de acceso ampliado y una encuesta de casos clínicos. En cuanto a la seguridad de Raxone, la mayoría de los efectos secundarios observados con el medicamento fueron de intensidad leve o moderada.

Raxone se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Raxone debido a la rareza de la enfermedad. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la nueva información disponible y el presente resumen se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Raxone?

Puesto que Raxone se ha aprobado bajo circunstancias excepcionales, la empresa que comercializa Raxone llevará a cabo más estudios sobre los efectos a largo plazo y la seguridad de Raxone y establecerá y mantendrá un registro de pacientes con NOHL tratados con Raxone.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro de Raxone?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Raxone se administra de la forma más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las características del producto y el prospecto de Raxone información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

Encontrará más información en el [resumen del plan de gestión de riesgos](#)

Otras informaciones sobre Raxone

El EPAR completo y el resumen del plan de gestión de riesgos de Raxone pueden consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Para mayor información sobre el tratamiento con Raxone, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Raxone puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).