

Public Summary SwissPAR vom 24.07.2024

Raxone[®] (Wirkstoff: Idebenone)

Zulassung in der Schweiz: 01.03.2024

Filmtabletten zur Behandlung von Sehstörungen bei Leberscher hereditärer Optikusneuropathie

Über das Arzneimittel

Raxone mit dem Wirkstoff Idebenone ist zur Behandlung von Sehstörungen bei Jugendlichen ab 12 Jahren und Erwachsenen mit Leberscher hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Dieser erblich bedingte Gendefekt ist sehr selten und betrifft Männer häufiger als Frauen. Die Erkrankung

führt zu einer Funktionsstörung der Sehnerven, verbunden mit einer verminderten Sehschärfe bis hin zur Erblindung.

Da es sich bei dieser Krankheit um eine seltene Krankheit handelt, wurde das Arzneimittel als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Wirkung

LHON-Patienten und -Patientinnen haben Gendefekte, die die Funktion der Mitochondrien (Zellorganellen, die als Kraftwerke der Zellen wirken) negativ beeinflussen. Der jeweilige Gendefekt führt zu einem Energiemangel in den betroffenen Zellen und zusätzlich zu einer Anhäufung von

schädlichen Sauerstoffprodukten (freie Radikale), die zu oxidativem Stress in der Zelle führen. Die Sehnervenzellen reagieren besonders empfindlich auf oxidativen Stress. Der Wirkstoff Idebenone verbessert den Energiestoffwechsel und reduziert den oxidativen Stress der betroffenen Zellen. Es wirkt somit als Antioxidans und verhindert eine weitere Zellschädigung.

Anwendung

Raxone ist rezeptpflichtig.

Raxone ist als Filmtablette in der Dosis von 150 mg erhältlich. Die empfohlene Dosis von Idebenone beträgt 900 mg pro Tag (2 Filmtabletten à 150 mg dreimal täglich). Die

Filmtabletten werden unzerkaut mit dem Essen eingenommen.

Bei Einnahme von Raxone kann sich der Urin rotbraun verfärben. Diese Verfärbung ist unbedenklich und führt nicht zu einer Änderung der Behandlung. Trotzdem sollte der

behandelnde Arzt oder Ärztin informiert werden.

Wirksamkeit

Die Wirksamkeit von Raxone bei LHON wurde in 2 Studien untersucht. In der RHODOS-Studie wurden 53 Personen ab 14 Jahren mit einer Erkrankungsdauer von maximal 5 Jahren über 24 Monate mit Raxone behandelt. In der Kontrollgruppe erhielten 28 Personen eine Scheinmedikation (Placebo). Der primäre Endpunkt¹ der Studie war die *beste Erholung der Sehschärfe*. Hier zeigte sich lediglich ein Trend zugunsten der Raxone-Gruppe verglichen mit der Placebo-Gruppe, der aber statistisch nicht signifikant war. Für den ersten sekundären Endpunkt *Veränderung in der besten Sehschärfe* hingegen erreichten mit Raxone behandelte Personen signifikant bessere Ergebnisse als

mit Placebo behandelte Studienteilnehmer und Studienteilnehmerinnen.

Die offene, nicht Placebo-kontrollierte LEROS-Studie untersuchte die Wirkung von Raxone bei 198 PatientInnen ab 12 Jahren mit einer Erkrankungsdauer von maximal 5 Jahren. Die Ergebnisse bestätigten die Wirksamkeit von Raxone bei der Förderung der Erholung und Verhinderung des Sehschärfelustes bei LHON-Patientinnen und Patienten mit einer Krankheitsdauer von maximal 5 Jahren.

Wirksamkeitsdaten für eine Behandlungsdauer von über 24 Monaten liegen nicht vor.

Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

Raxone darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe nicht angewendet werden.

Die häufigsten unerwünschten Wirkungen sind Kopfschmerzen bei 12 % der Patienten und Patientinnen sowie Rhinopharyngitis (Entzündung der Nasen- und der Rachenschleimhaut) bei 11 %. Darüber hinaus kann

es zu Leberwerterhöhungen kommen, die schwerwiegend sein können.

Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) sowie in der Fachinformation aufgeführt.

Begründung des Zulassungsentscheids

Die beiden Wirksamkeitsstudien RHODOS und LEROS zeigten positive Effekte für LHON-Patienten und -Patientinnen über 12 Jahre, deren Erkrankung für das zuletzt erkrankte Auge nicht länger als 5 Jahre zurücklag und für eine Behandlungsdauer von

maximal 24 Monaten. Unter Berücksichtigung aller Risiken und Vorsichtsmassnahmen und aufgrund der vorliegenden Daten überwiegen die Vorteile von Raxone die Risiken. Swissmedic hat daher das Arzneimittel Raxone mit dem Wirkstoff Idebenone für die Schweiz zugelassen.

¹ Primärer Wirksamkeitsendpunkt: Der primäre Endpunkt ist das, vor der Studie festgelegte, erstrangige Ziel der Studie. Wird der primäre Endpunkt erreicht oder übertroffen, belegt die Studie, dass eine Behandlung wirksam ist. Sekundäre Endpunkte dagegen bilden weitere Effekte ab, die jedoch nicht

eindeutig die Wirksamkeit belegen bzw. keinen eindeutigen Schluss auf das eigentliche Zielkriterium (primärer Endpunkt) erlauben.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal:
[Fachinformation Raxone®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Information für Patientinnen und Patienten
(Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Raxone®](#)

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Public Summary SwissPAR ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.