

Public Summary SwissPAR del 24.07.2024

## Raxone<sup>®</sup> (principio attivo: idebenone)

Omologazione in Svizzera: 01.03.2024

Comprese rivestite con film per il trattamento della compromissione visiva associata a neuropatia ottica ereditaria di Leber

### Informazioni sul medicamento

Raxone con il principio attivo idebenone è omologato per il trattamento della compromissione visiva in adolescenti a partire dai 12 anni e persone adulte con neuropatia ottica ereditaria di Leber (LHON). Questo difetto genetico ereditario è molto raro e colpisce gli uomini più spesso delle donne. La malattia porta a una disfunzione dei nervi ottici,

associata a una riduzione dell'acuità visiva fino alla cecità.

Poiché si tratta di una malattia rara, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

### Meccanismo d'azione

Le pazienti e i pazienti affetti da LHON hanno difetti genetici che influenzano negativamente la funzione dei mitocondri (organelli cellulari che fungono da centrali energetiche delle cellule). Il rispettivo difetto genetico provoca una mancanza di energia nelle cellule colpite e, inoltre, a un accumulo di prodotti nocivi dell'ossigeno

(radicali liberi), che causano uno stress ossidativo all'interno della cellula. Le cellule del nervo ottico sono particolarmente sensibili allo stress ossidativo. Il principio attivo idebenone migliora il metabolismo energetico e riduce lo stress ossidativo delle cellule colpite. Agisce quindi come antiossidante e previene ulteriori danni alle cellule.

### Impiego

Raxone è soggetto a prescrizione medica ed è disponibile sotto forma di compresse rivestite con film da 150 mg. La dose raccomandata di idebenone è di 900 mg al giorno (2 compresse rivestite con film da 150 mg tre volte al giorno). Le compresse rivestite con film devono essere assunte intere con il cibo.

Con l'assunzione di Raxone, l'urina può diventare di colore bruno-rossastro. Questo cambiamento di colore è innocuo e non significa che il trattamento debba essere modificato. Tuttavia, occorre informare la medica/il medico curante.

---

## Efficacia

---

L'efficacia di Raxone in pazienti con LHON è stata esaminata in 2 studi. Nello studio RHODOS, 53 persone di età pari o superiore a 14 anni con una durata massima della malattia di 5 anni sono state trattate con Raxone per 24 mesi. Nel gruppo di controllo, 28 persone hanno ricevuto un medicamento fittizio (placebo). L'endpoint primario<sup>1</sup> dello studio era il *migliore recupero dell'acuità visiva*. Qui è emersa solo una tendenza a favore del gruppo Raxone rispetto al gruppo placebo, che non si è però rivelata statisticamente significativa. Invece, per il primo endpoint secondario *variazione della migliore acuità visiva*, le persone trattate con Raxone hanno

ottenuto risultati significativamente migliori rispetto alle/ai partecipanti allo studio trattati con placebo.

Lo studio LEROS, in aperto e non controllato con placebo, ha esaminato l'effetto di Raxone in 198 pazienti di età pari o superiore a 12 anni con una durata massima della malattia di 5 anni. I risultati hanno confermato l'efficacia di Raxone nel promuovere il recupero e prevenire la perdita dell'acuità visiva in pazienti con LHON con una durata massima della malattia di 5 anni.

Non sono disponibili dati sull'efficacia di un trattamento di durata superiore a 24 mesi.

---

## Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

---

Raxone non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Gli effetti indesiderati più comuni sono mal di testa nel 12% delle/dei pazienti e rinofaringite (infiammazione della mucosa nasale

e faringea) nell'11%. Inoltre, vi è la possibilità che si verifichino aumenti dei valori epatici, che possono essere gravi.

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

---

## Motivazione della decisione di omologazione

---

I due studi di efficacia RHODOS e LEROS hanno evidenziato effetti positivi per le pazienti e i pazienti affetti da LHON di età superiore a 12 anni, la cui malattia non risaliva a più di 5 anni prima per l'occhio ammalatosi per ultimo e per una durata massima del trattamento di 24 mesi. Tenendo conto di

tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Raxone superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento Raxone contenente il principio attivo idebenone.

---

<sup>1</sup> Endpoint primario di efficacia: l'endpoint primario è il primo obiettivo dello studio fissato prima che questo inizi. Se l'endpoint primario viene raggiunto o superato, lo studio dimostra che il trattamento è efficace. Gli endpoint secondari, invece, illustrano altri effetti che, tuttavia, non confermano

in modo inequivocabile l'efficacia o non consentono di trarre una conclusione univoca sul criterio target effettivo (endpoint primario).

---

## Maggiori informazioni sul medicamento

---

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Raxone®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti di Raxone®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Public Summary SwissPAR.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.